



Opinia Rady Przejrzystości

nr 101/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną leflunomidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną leflunomidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów – postać wielostawowa po niepowodzeniu terapii lub w przypadku nietolerancji metotreksatu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej opinii jest aktualizacja danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz istnienia nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania substancji czynnej leflunomidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów – postać wielostawowa po niepowodzeniu terapii lub w przypadku nietolerancji metotreksatu. Wniosek był już czterokrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (opinie Rady Przejrzystości nr 109/2022 z dnia 11 lipca 2022 roku; nr 255/2019 z dnia 12 sierpnia 2019 roku; nr 275/2016 z dnia 13 września 2016 roku; nr 270/2014 z dnia 15 września 2014 roku). Każdorazowo była to opinia pozytywna.

Dowody naukowe

Rozpatrywane dowody naukowe dotyczące stosowania metotreksatu u dzieci i młodzieży z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów skupiły się na uznaniu aktualności danych z badania porównawczego metotreksatu z leflunomidem (Silverman E i współpracownicy). W porównaniu z leflunomidem, leczenie doustnym metotreksatem (0,5 mg/kg/tydzień): może zwiększyć liczbę dzieci i młodzieży, u których uzyskano odpowiedź na leczenie, może mieć niewielki lub żaden wpływ na średnią funkcję i średnią ogólną ocenę samopoczucia uczestników, może mieć niewielki lub żaden wpływ na liczbę poważnych zdarzeń niepożądanych i na liczbę wycofań z powodu zdarzeń

niepożądanych. Nie znaleziono żadnych badań oceniających liczbę dzieci i młodzieży z klinicznie nieaktywną chorobą lub średnim bólem.

Według rekomendacji Australian Living Guideline 2025 u dzieci i młodzieży z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów wymagającym ogólnoustrojowego leku przeciwreumatycznego modyfikującego przebieg choroby, należy rozważyć stosowanie metotreksatu jako terapii początkowej w dawce 15 mg/m² raz w tygodniu (maksymalna dawka 25 mg na tydzień). Metotreksat jest preferowany w stosunku do leflunomidu, chyba że istnieją szczególne przeciwwskazania do stosowania metotreksatu.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;*
- *Pozytywne rekomendacje kliniczne.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).