



Opinia Rady Przejrzystości

nr 13/2025 z dnia 13 stycznia 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych: stan po przeszczepieniu kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.

Uzasadnienie

Wniosek dotyczy oceny zasadności kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych: stan po przeszczepieniu kończyny, rogówki, tkanek lub komórek. Oceniana technologia otrzymała pozytywną opinię Rady Przejrzystości nr 37/2022 z dnia 7 marca 2022 roku.

Wyniki badań: Asleh 2022 Wnioski autorów – konwersja pacjentów na sirolimusum jako główne leczenie immunosupresyjne było związane z istotnym spadkiem ryzyka wystąpienia PTLD po przeszczepieniu serca niezależnie od innych czynników.

Wyniki badania Iqbal 2023 wskazują, że kombinacja PTC+SYR może być z powodzeniem stosowana u chorych po alloHSCT, która równocześnie wiąże się z mniejszą częstością wystąpienia przewlekłego GVHD oraz pozwala na wcześniejsze przerwanie leczenia immunosupresyjnego w porównaniu ze schematem TAC+MTX.

Wegener 2023 Wnioski autorów – Po zmianie standardowej profilaktyki GVHD złożonej z takrolimusu i MMF na cyklosporynę, MMF i sirolimusum stwierdzono redukcję częstości występowania ostrego GVHD stopnia 2-4 oraz poprawę przeżycia całkowitego po 2 latach. Przedstawione badanie obserwacyjne wspiera informacje pochodzące z rzeczywistej praktyki wskazujące na korzyści stosowania sirolimusum jako element profilaktyki GVHD u pacjentów po allo-HSCT z HLA-dopasowanym dawcą niespokrewnionym bez mieloablacji.

Wytyczne Polskiego Towarzystwa Transplantologicznego 2021/22 i brytyjskie BTS 2023 potwierdzają użyteczność kliniczną sirolimus w leczeniu immunosupresyjnym po przeszczepieniu tkanek i kończyn.

Główny argument decyzji

- *Zaktualizowane dowody naukowe potwierdzają dotychczasowe wnioskowanie Rady Przejrzystości.*
- *Ustalona praktyka kliniczna.*

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), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.63.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4220.10.2022) „Kwas mykofenolowy, azatiopryna, ewerolimus, takrolimus, syrolimus we wskazaniu: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek”, data ukończenia: 31 grudnia 2024 r.