



Opinia Rady Przejrzystości

nr 124/2025 z dnia 14 lipca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną cyclophosphamidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Lekniczego tj. sarkoidoza; śródmiąższowe zapalenie płuc - w przypadkach innych niż określone w ChPL – z wyjątkiem idiopatycznego włóknienia płuc

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną cyclophosphamidum we wskazaniach:

- sarkoidoza;
- śródmiąższowe zapalenie płuc - w przypadkach innych niż określone w ChPL – z wyjątkiem idiopatycznego włóknienia płuc.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Sarkoidoza jest chorobą ogólnoustrojową, która może stanowić zagrożenie życia. Przyczyną zgonu z powodu sarkoidozy jest najczęściej postępująca niewydolność oddechowa. W przypadku oporności na leczenie glikokortykosteroidami lub konieczności zmniejszenia ich dawek, może istnieć potrzeba zastosowania cyklofosfamidu. Cyklofosfamid może być również użyteczny w leczeniu śródmiąższowych zapaleń płuc, jednak innych niż idiopatyczne włóknienie płuc, w którym jest bezwzględnie przeciwwskazany.

Rada Przejrzystości opiniowała refundację leku w ww. wskazaniach trzykrotnie (rok 2016, 2019 i 2022). W każdym przypadku opinia była pozytywna.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych badań, które podważyłyby skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cyklofosfamidu we wnioskowanych wskazaniach.

Aktualizacja wytycznych klinicznych

Odnaleziono wytyczne American College of Rheumatology (ACR)/American College of Chest Physicians (CHEST) z 2023 "Guideline for the Treatment of Interstitial Lung Disease in People with Systemic Autoimmune Rheumatic Diseases", dotyczące leczenia śródmiąższowej choroby płuc. Cyklofosfamid

wskazany jest jako druga (po steroidach i lekach biologicznych) linia leczenia tych chorób, także związanych z ciężkim przebiegiem zakażenia wirusem SARS COV-2. Dodatkowo wskazania do leczenia cyklofosfamidem w ww. wskazaniach potwierdzono w publikacji Wijzenbeeka z 2022, opartej na przeglądzie aktualnego piśmiennictwa i analizie aktualnej praktyki klinicznej.

Główne argumenty decyzji

- Pozytywne wcześniejsze opinie Rady,
- Brak nowych danych klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa, które zmieniałyby wnioskowanie w tej sprawie,
- Leczenie zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi.

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).