



Opinia Rady Przejrzystości
nr 135/2025 z dnia 4 sierpnia 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Lekniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności;*
- *cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej opinii jest aktualizacja danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz dowodów naukowych na potrzeby kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetylu we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności oraz cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego.

Wniosek był już trzykrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (opinie Rady Przejrzystości nr 137/2022 z dnia 12 września 2022 roku; nr 345/2019 z dnia 21 października 2019 roku; nr 339/2016 z dnia 21 listopada 2016 roku). Każdorazowo była to opinia pozytywna.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych dowodów naukowych, które wskazywałyby na konieczność zmiany poprzednich stanowisk Rady. Cytopenie występują np. w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego (ALPS). Podstawą leczenia tych chorób są glikokortykosteroidy i immunoglobuliny. Mykofenolan mofetylu (MMF) może być stosowany jako opcja w przypadkach opornych na te leki.

Odnalezione wytyczne kliniczne, tj. Krawczyk 2025 oraz NHS 2025 rekomendują stosowanie mykofenolanu mofetylu w rozpatrywanych wskazaniach pozarejestacyjnych.

Główne argumenty decyzji

- *Poprzednie pozytywne opinie Rady Przejrzystości;*
- *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).