



Opinia Rady Przejrzystości
nr 136/2025 z dnia 4 sierpnia 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. cytopenie w przebiegu
autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego - odporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach.

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 sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego - odporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach.

Wniosek był już trzykrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (opinie Rady Przejrzystości nr 138/2022 z dnia 12 września 2022 roku; nr 345/2019 z dnia 21 października 2019 roku; nr 340/2016 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.

W leczeniu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego stosuje się glikokortykosteroidy, mykofenolan mofetylu, sirolimus, immunoglobulinę G i rytuksymab. Leki te służą do łagodzenia objawów, a brak jest standardowych zaleceń dotyczących leczenia.

Odnalezione wytyczne kliniczne, tj. Paskiewicz 2023 oraz Rao 2024 rekomendują stosowanie sirolimusu we wskazaniu pozarejestacyjnym: cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego.

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).