



Opinia Rady Przejrzystości

nr 27/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ciclosporinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy; małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek

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

- *aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego;*
- *białaczka z dużych granularnych limfocytów T;*
- *wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego;*
- *zespół aktywacji makrofagów;*
- *zespół hemofagocytowy;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne;*
- *stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.*

Uzasadnienie

Cyclosporyna jest lekiem immunosupresyjnym stosowanym powszechnie od wielu lat w wielu jednostkach chorobowych. Praktyka kliniczna oraz wytyczne towarzystw naukowych potwierdzają użyteczność kliniczną cyclosporyny w leczeniu skojarzonym we wnioskowanych wskazaniach.

Analiza kliniczna dostępnych dowodów naukowych posiada jednak istotne ograniczenia, ze względu na badania niskiej jakości, małą populację pacjentów biorących udział w badaniach, znaczące różnice populacji badanej w stosunku do populacji wnioskowanej, różne dawki oraz skojarzenie w terapii z różnymi innymi lekami.

Mimo powyższych ograniczeń Rada Przejrzystości pozytywnie opiniowała wnioski o objęcie refundacją cyclosporyny w przedmiotowych wskazaniach (Opinia Rady Przejrzystości nr 115/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 r. i nr 41/2022 z dnia 14 marca 2022 r.). Od czasu wydania ostatniej opinii Rady, nie pojawiły się nowe publikacje oceniające skuteczność cyclosporyny we wnioskowanych wskazaniach.

Uwzględniając dostępne dowody naukowe oraz wieloletnie doświadczenia i ugruntowaną pozycję w leczeniu, potwierdzoną wytycznymi i rekomendacjami towarzystw naukowych, Rada uważa, że cyclosporyna powinna być dostępna, jako jedna z alternatyw terapeutycznych, we wskazaniach pozarejestacyjnych wymienionych we wniosku.

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).