



Opinia Rady Przejrzystości
nr 28/2025 z dnia 10 lutego 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 Leczniczego tj. zespół hemofagocytowy;
zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie
kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie
kortykosteroidami

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

- *zespół hemofagocytowy;*
- *zespół POEMS;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami;*
- *anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.*

Uzasadnienie

W dniu 14 marca 2022 roku została wydana pozytywna Opinia Rady Przejrzystości nr 42/2022 w sprawie zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną cyklofosfamid, w tym samym wskazaniu.

W wyniku wyszukiwania aktualnych wytycznych klinicznych dotyczących leczenia zespołu hemofagocytowego, zespołu POEMS, małopłytkowości oraz anemii hemolitycznej, odnaleziono kilka nowych opracowań.

Rozpatrzone dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzedniego raportu odnośnie możliwości stosowania cyklofosfamidu w ocenianych jednostkach chorobowych i jakości dowodów naukowych. Dotychczasowe opracowania wskazują, że cyklofosfamid jest stosowany w leczeniu zespołu hemofagocytowego (HLH), zespołu POEMS, małopłytkowości odpornej na leczenie kortykosteroidami i anemii hemolitycznej odpornej na leczenie kortykosteroidami.

W ramach wyszukiwania odnaleziono następujące wytyczne kliniczne NCCN 2024, PGSz 2022/2023, PTHiT 2023, NCCN 2025. W zaktualizowanych zaleceniach Polskiej Grupy Szpiczakowej – PGSz 2022/2023, dotyczących rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytozy oraz innych dyskrazji,

wymieniono cyklofosfamid wśród najczęściej stosowanych leków w POEMS. Zalecenia te są również zgodne z NCCN 2024. W wytycznych zawartych w NCCN 2025 oraz PTHiT 2023 wymieniono cyklofosfamid jako opcję terapeutyczną w przypadku odpornej na wcześniejsze leczenie anemii hemolitycznej.

Ponadto, w publikacji *Autore 2024* dotyczącej zespołu POEMS wskazuje się na zasadność stosowania cyklofosfamidu uzyskując wskaźniki przeżycia bez progresji i ogólnego przeżycia po 6 latach na poziomie 65%. Podobne wnioski uzyskano w publikacji *Khouri 2024* oraz *He 2024*, w których zalecono stosowanie ixazomibu w leczeniu zespołu POEMS. Przedstawiono wyniki badania w połączeniu z cyklofosfamidem i deksametazonem u nowo zdiagnozowanych pacjentów z POEMS. Triplet wykazał zadawalającą skuteczność i tolerancję stanowiąc opcję leczenia dla pacjentów z POEMS.

Odnalezione dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzedniego raportu odnośnie do możliwości stosowania cyklofosfamidu w ocenianych jednostkach chorobowych i jakości dowodów naukowych, co uzasadnia utrzymanie pozytywnej opinii Rady w sprawie refundacji leku cyklofosfamid.

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).