



Opinia Rady Przejrzystości

nr 29/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną danazol w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce

Produktu Leczniczego tj. małopłytkowość

autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną danazol w wskazaniach:

- *małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny.*

Uzasadnienie

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności kontynuowania finansowania leków zawierających danazol w wskazaniach pozarejestacyjnych (małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie oraz zespołu mielodysplastycznym). Poprzednie, pozytywne opinie Rady Przejrzystości dotyczące stosowania danazolu w powyższych wskazaniach zostały wydane w latach 2019 (nr 108/2019) oraz 2022 (nr 44/2022). Dowody naukowe, które uzasadniają stosowanie danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespole mielodysplastycznym są nadal ograniczone. W wytycznych klinicznych dotyczących leczenia małopłytkowości autoimmunizacyjnej, ASH 2022 wymienia się danazol jako opcję terapeutyczną. Z kolei wytyczne NCNN z 2025 r. nie wskazują na zastosowanie leku w przypadku zespołu mielodysplastycznego. Wyniki przeglądów systematycznych, które opublikowano po 2022 r. wskazują na kliniczną użyteczność zastosowania danazolu w odpornej na leczenie małopłytkowości autoimmunizacyjnej oraz zespole mielodysplastycznym (Shah 2023, Shah 2024). Odnaleziono również pracę oryginalną wskazującą na skuteczność danazolu w skojarzeniu iguratimodem w leczeniu małopłytkowości odpornej na leczenie (Zhux 2023).

Podsumowując, nie odnaleziono istotnych danych klinicznych, które uzasadniałyby zmianę pozytywnej poprzedniej opinii Rady Przejrzystości z 2022 r., dotyczącej stosowania danazolu w ocenianych wskazaniach pozarejestacyjnych.

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).