



Opinia Rady Przejrzystości

nr 41/2025 z dnia 10 marca 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. zespół Klippela-Trénaunaya

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół Klippela-Trénaunaya.

Uzasadnienie

Zespół Klippela-Trénaunaya (KTS, ang. Klippel-Trénaunay syndrome) stanowi grupę malformacji naczyniowych obejmujących triadę objawów podstawowych, takich jak przerost kości i tkanek miękkich (zlokalizowany najczęściej w obrębie kończyny dolnej), rozległe żylaki, zwykle jednej kończyny oraz malformacje naczyń chłonnych, znamiona naczyniowe (naczyniaki), zlokalizowane zazwyczaj na skórze kończyny, której dotyczy wada. Nie ma on wydzielonej grupy w ramach ICD-10.

Postawienie diagnozy u chorych z zespołem Klippela-Trénaunaya wymaga złożonej diagnostyki, z wykorzystaniem ultrasonografii dopplerowskiej, wenografii, arteriografii, spiralnej TK i angio-MR. U pacjentów ze zwiększonym ryzykiem przeciążenia objętościowego serca oraz z licznymi przetokami należy rozważyć wykonanie badania echokardiograficznego. Diagnostyka pacjentów, u których występuje triada objawów KTS nie stwarza większych problemów.

Wytyczne praktyki klinicznej, które posłużyły do wydania pozytywnych opinii tak w roku 2019, jak i w roku 2022 są następujące: amerykańskie - Grupy roboczej ds. zespołu Klippela-Trénaunaya z 2016 roku (KTS Working Group 2016), europejskie - European Society for Vascular Surgery z 2015 roku (ESVS) oraz międzynarodowe - Internationa Union of Phebology (IUP). Jedynie rekomendacje KTS Working Group 2016 odnoszą się do leczenia KTS z zastosowaniem sirolimusu i rekomendują zastosowanie ocenianej interwencji w leczeniu rozległych malformacji limfatycznych, nawracających infekcji czy krwawienia z układu pokarmowego w przebiegu KTS. Należy mieć na uwadze, że nie zostały zmienione i nadal obowiązują.

Poza powyżej wskazanymi rekomendacjami pojawiają się również publikacje opisujące stosowanie przedmiotowej technologii w leczeniu KTS.

Należy mieć na uwadze, że te dowody mają bardzo niską jakość jednak są wystarczające do wydania pozytywnej rekomendacji.

Główne argumenty decyzji:

- aktualne rekomendacje;
- dowody naukowe, takie jak opisy przypadków i analizy efektów klinicznych potwierdzające zasadność stosowania przedmiotowej technologii;
- niezaspokojona potrzeba medyczna;
- mały wpływ na budżet płatnika publicznego.

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).