



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 54/2025 z dnia 31 marca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. ziarniniak grzybiasty; choroba Sezary'ego; czerwienica prawdziwa; przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku; nadpłytkowość samoistna

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych:*

- *C.84.0. ziarniniak grzybiasty;*
- *C.84.1. choroba Sezary'ego;*
- *D.45. czerwienica prawdziwa;*
- *D.47.1. przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku;*
- *D.75.2. nadpłytkowość samoistna.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Peginterferon jest nieswoiście działającym, stosowanym od dawna lekiem, modyfikującym przebieg szeregu chorób hematologicznych. Lek ten był przedmiotem wcześniejszych decyzji Rady:*

- *Pozytywnej z dnia 23 grudnia 2019 roku, w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: chłoniaki skórne T-komórkowe (ICD-10 C.84, C.84.0, C.84.1);*
- *Negatywnej z dnia 17 czerwca 2019 roku w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa2a we wskazaniu pozarejestacyjnym D.45 czerwienica prawdziwa;*
- *Negatywnej z dnia 3 czerwca 2019 roku, w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej peginterferonum alfa-2a wskazaniach pozarejestacyjnych, m. in. C.84.0 ziarniniak grzybiasty, C.84.1*

choroba Sezary'ego, D47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D.75.2 nadpłytkowość samoistna;

- *Opinia nr 63/2022 z dnia 2 maja 2022 roku stanowiła: Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną peginterferonum alfa-2a we wskazaniach pozarejestacyjnych: C.84.0 ziarniniak grzybiasty; C.84.1 choroba Sezary'ego; D.45 czerwienica prawdziwa, D.47.1 przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku, D75.2 nadpłytkowość samoistna.*

### Dowody naukowe

*Peginterferon alfa-2a wykazuje skuteczność w leczeniu różnych schorzeń hematologicznych, takich jak czerwienica prawdziwa, przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku oraz choroby nowotworowe, takie jak ziarniniak grzybiasty i choroba Sezary'ego. W badaniach klinicznych, takich jak te opisane w publikacjach, wykazano, że peginterferon alfa-2a może prowadzić do poprawy parametrów hematologicznych oraz zmniejszenia objawów chorobowych, co jest istotne dla jakości życia pacjentów.*

*Wcześniejsze stanowiska Rady Przejrzystości oraz Prezesa AOTMiT wskazują na potrzebę elastyczności w stosowaniu terapii, zwłaszcza w przypadkach, gdy standardowe metody leczenia są niewystarczające lub pacjenci nie tolerują dostępnych terapii. W takich sytuacjach peginterferon alfa-2a może stanowić wartościową alternatywę.*

*Dodatkowo, badania wskazują na korzystny profil bezpieczeństwa peginterferonu alfa-2a, co czyni go atrakcyjną opcją terapeutyczną. Warto również zauważyć, że w przypadku pacjentów z mutacjami CALR, jak pokazano w badaniach, peginterferon alfa-2a może przynieść znaczące korzyści terapeutyczne.*

*Wytyczne:*

*NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) Myeloproliferative Neoplasms Version 1.2025 — February 21, 2025: D45 (czerwienica prawdziwa), D47.1 (przewlekła choroba układu wytwórczego szpiku) oraz D75.2 (nadpłytkowość samoistna), wytyczne NCCN zawierają zalecenia dotyczące stosowania peginterferonu alfa-2a w określonych przypadkach.*

*"EORTC consensus recommendations for the treatment of mycosis fungoides/Sézary syndrome – Update 2023" opublikowany w European Journal of Cancer w grudniu 2023 roku, zawiera zaktualizowane wytyczne dotyczące leczenia ziarniniaka grzybiastego (C84.0) i zespołu Sézary'ego (C84.1). Wytyczne zawierają zalecenia dotyczące stosowania pegylowanego interferonu alfa po wycofaniu rekombinowanych interferonów niepegylowanych*

*"Recommendations of Polish Adult Leukemia Group concerning diagnostics and treatment of polycythemia vera" dotyczy diagnozy i leczenia czerwienicy prawdziwej (PV, kod ICD-10 D45) w kontekście nowotworów mieloproliferacyjnych.*

*NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) dotyczące pierwotnych chłoniaków skórnych, wersja 1.2025 z dnia 11 listopada 2024, obejmują m.in. ziarniniaka grzybiastego (C84.0) oraz zespół Sézary'ego (C84.1). Wytyczne nie wskazują peginterferonu alfa-2a jako standardowego leku.*

### Główne argumenty decyzji

- *Dostępne dane naukowe potwierdzają, że peginterferonu alfa-2a wykazuje pewną skuteczności i potwierdza swoje bezpieczeństwo w leczeniu wskazanych schorzeń;*
- *Aktualne wytyczne wskazujące na zasadność zastosowania peginterferonu alfa-2a w pewnych przypadkach;*
- *Brak przesłanek do zmiany wcześniejszych stanowisk Rady Przejrzystości.*

### **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).