



**Opinia Rady Przejrzystości**  
nr 64/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania  
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych  
niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego  
tj. choroba śródmiąższowa płuc

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/autozapalnej choroby reumatycznej.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną: Mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/autozapalnej choroby reumatycznej.*

*Mycophenolas mofetil nie był dotychczas przedmiotem oceny Rady w przedmiotowych wskazaniach pozarejestacyjnych. Oceniany stan kliniczny może wystąpić w przebiegu wielu autoimmunologicznych/autozapalnych chorób reumatycznych, min:*

- *Zapalenia naczyń związane z p-ciałami ANCA;*
- *Twardzina układowa;*
- *Toczeń rumieniowaty układowy;*
- *Zapalenie wielomięśniowe;*
- *Reumatoidalne zapalenie stawów;*

*Mycophenolas mofetil (2-morfolinoetylowy estr MPA) jest lekiem immunosupresyjnym. MPA jest selektywnym, niekompetycyjnym i odwracalnym inhibitorem IMPDH, dlatego hamuje syntezę de novo nukleotydów guaninowych bez wbudowywania się w strukturę DNA. Proliferacja limfocytów T oraz B jest*

wybitnie uzależniona od syntezy puryn *de novo*, podczas gdy komórki innego typu dysponują alternatywnymi drogami syntezy. Dlatego MPA wywiera silniejsze działanie cytostaticzne na limfocyty niż na inne komórki. Oprócz hamowania IMPDH, która skutkuje deprywacją limfocytów, MPA wpływa również na komórkowe punkty kontrolne odpowiedzialne za programowanie metaboliczne limfocytów. Wykazano, że przy użyciu ludzkich limfocytów T CD4+ MPA przesuwają aktywność transkrypcyjną w limfocytach ze stanu proliferacyjnego do procesów katabolicznych istotnych dla metabolizmu i przeżycia. Prowadzi to do stanu anergii limfocytów T, w którym komórki przestają reagować na swój swoisty antygen.

Alternatywne technologie medyczne stosowane w analizowanym wskazaniu: glikokortykosteroidy systemowe, rytuksymab, tocilizumab.

### Dowody naukowe

Mykofenolan mofetylu (MMF) jest w wytycznych opisywany jako ważna, konwencjonalna terapia immunosupresyjna stosowana w wybranych zapalnych chorobach reumatycznych oraz w śródmiąższowych chorobach płuc (ILD) powiązanych z chorobami autoimmunologicznymi.

W SLE (ACR 2025) MMF zaliczono do tradycyjnych leków immunosupresyjnych, a typowe dawkowanie wynosi 2–3 g/dobę. ACR rekomenduje również wczesne włączenie immunosupresji (w tym MMF) przy utrzymującej się aktywności SLE, aby uzyskać remisję/niski poziom aktywności i ograniczyć toksyczność steroidów.

W IIM (BSR 2022) MMF jest wymieniany jako jedna z opcji terapeutycznych (szczególnie w pediatrii dla objawów skórnych i mięśniowych), a u dorosłych może być rozważany zarówno w leczeniu aktywnego zapalenia mięśni, jak i w długoterminowym utrzymaniu remisji.

W SARD-ILD (ACR/CHEST 2023) MMF jest warunkowo rekomendowany jako opcja leczenia pierwszej linii (obok rytuksymabu, cyklofosfamidu i AZA), a w SSc-ILD dodatkowo uzasadniany porównywalną skutecznością do cyklofosfamidu przy korzystniejszym profilu tolerancji.

Mykofenolan mofetylu (MMF) w chorobach autoimmunologicznych z zajęciem płuc i nerek wykazuje umiarkowaną, ale klinicznie istotną skuteczność, przede wszystkim w zakresie stabilizacji choroby. W śródmiąższowych chorobach płuc (ILD) związanych z chorobami tkanki łącznej obserwuje się niewielką poprawę lub zahamowanie spadku FVC oraz korzystny wpływ na DLCO, choć wyniki badań są heterogeniczne i często oparte na danych obserwacyjnych. MMF rzadziej wykazuje wpływ na „twarde” punkty końcowe, takie jak progresja choroby. W zajęciu nerek, zwłaszcza w przebiegu toczni rumieniowatej układu, MMF stanowi standard leczenia, skutecznie indukując remisję i podtrzymując kontrolę choroby. Łącznie dane wskazują, że MMF jest bardziej lekiem

*stabilizującym niż odwracającym przebieg choroby, ale jego skuteczność jest dobrze ugruntowana w kluczowych podgrupach pacjentów.*

*W analizach dotyczących ILD związanej z chorobami autoimmunologicznymi MMF charakteryzował się akceptowalną tolerancją, a ryzyko przerwania leczenia z powodu działań niepożądanych nie było istotnie większe niż w grupach kontrolnych; w porównaniach pośrednich MMF wypadł korzystniej (mniej przerw) niż niektóre terapie o gorszej tolerancji. Zdarzenia niepożądane raportowane najczęściej u pacjentów otrzymujących MMF obejmowały objawy ze strony przewodu pokarmowego (szczególnie biegunka) oraz zakażenia/„zapalenie płuc”, a także zaburzenia hematologiczne takie jak limfopenia/leukopenia i niedokrwistość; opisywano również zakażenia skóry.*

*Główne argumenty decyzji:*

- Aktualne dowody naukowe oraz wytyczne kliniczne potwierdzają zasadność stosowania mykofenolanu mofetylu w leczeniu śródmiąższowych chorób płuc oraz zajęcia nerek w przebiegu chorób autoimmunologicznych,*
- Terapia może przynieść korzyści pacjentom, którzy źle tolerują dostępne technologie alternatywne - szczególnie glikokortykosteroidy,*
- Akceptowalne obciążenie płatnika publicznego a nawet możliwe oszczędności.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 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 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.422.2.2.2025 „Mycophenolas mofetil we wskazaniu pozarejestacyjnym: Choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/ autozapalnej choroby reumatycznej”; data ukończenia: 9 kwietnia 2025 r.