



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 97/2012 z dnia 11 czerwca 2012 r.  
w sprawie objęcia refundacją leków stosowanych w  
hematologii i hematologii, kardiologii, transplantologii  
określonych w załączniku do pisma o sygn. MZ-PL-460-14444-  
21/GB/12 w zakresie wskazań do stosowania odmiennych niż  
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada nie była w stanie szczegółowo ustosunkować się odrębnie do każdej z 27 pozycji wymienionych w załączonych poniżej tabelach, ze względu na konieczność rozpatrzenia tematów w bardzo krótkim czasie (14 dni od daty wpłynięcia zlecenia) oraz konieczność rozpatrzenia innych tematów. Rada zwraca uwagę na to, że art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.) w ust. 2 mówi o tym, że Rada Przejrzystości wydaje opinię w terminie 14 dni, biorąc pod uwagę w szczególności istotność stanu klinicznego, w którym ma być stosowany lek. W ustępie tym mowa jest zatem o leku, a nie o wielu lekach stosowanych w różnych jednostkach chorobowych. Zwracamy uwagę na to, że stanowisko wszystkich ekspertów klinicznych w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL omawianych 27 pozycji było pozytywne. Jednocześnie Rada ponownie zwraca uwagę na konieczność uregulowania prawodawstwa dotyczącego stosowania i finansowania leków off-label w Polsce.*

*Wskazania, które z wymienionych w zleceniu jednostek chorobowych dla leków dexamethasonum (w stałej doustnej postaci), methylprednisolonum (w stałej doustnej postaci) i prednisonum nie mieszczą się we wskazaniu refundacyjnym „nowotwory złośliwe” albo we wskazaniu refundacyjnym „we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji”, zostały zawarte w materiałach Agencji (w załączeniu).*

**Uzasadnienie**

*Rada nie widzi podstaw do kwestionowania opinii ekspertów dotyczących stosowania i finansowania omawianych technologii lekowych we wskazaniach off-label.*



**Przedmiot zlecenia**

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków wymienionych w załączniku do pisma zlecającego (pismo z dnia 31 maja 2012 r. o sygnaturze MZ-PL-460-14444-21/GB/12). W załączniku zlecenia wymieniono 18 substancji czynnych, z lub bez określenia postaci farmaceutycznej, które miałyby być refundowane we wskazaniach hematologicznych i hematologicznych oraz 9 substancji czynnych, z lub bez określenia postaci farmaceutycznej, które miałyby być refundowane we wskazaniach transplantologicznych.

Substancje czynne i wskazania, których dotyczy niniejsza opinia Rady przedstawiono w tabelach poniżej.

L.p	Substancja czynna	Wskazania objęte zleceniem	Uwagi MZ
1	Aciclovirum (w stałej doustnej postaci leku)	leczenie zapobiegawcze u pacjentów po autologicznym lub allogenicznym przeszczepie szpiku; leczenie profilaktyczne u pacjentów z zaburzeniami odporności lub chorobami rozrostowymi układu krwiotwórczego	
2	Budesonidum (w stałej doustnej postaci leku)	postać jelitowa choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi	
3	Ciclosporinum	aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; LGL Leukemia (Białaczka z dużych granularnych limfocytów T; Large granular lymphocytic leukemia); PRCA (Wybiórcza aplazja układu czerwonekrwinkowego; Pure red cell aplasia); zespół aktywacji makrofagów (MAS); zespół hemofagocytowy (HLH); małopłytkowości oporne na leczenie; paliatywne leczenie MDS (zespół mielodysplastyczny); paliatywne leczenie przewlekłej białaczki mielomonocytovej (CMML)	
4	Ciprofloxacinum (w stałej doustnej postaci leku)	zapobieganie zakażeniom u pacjentów z neutropenią	
5	Cotrimoxazolum	leczenie zapobiegawcze u pacjentów po autologicznym lub allogenicznym przeszczepie szpiku; leczenie profilaktyczne u pacjentów z zaburzeniami odporności lub chorobami rozrostowymi układu krwiotwórczego	
6	Cyclophosphamidum	zespół aktywacji makrofagów (MAS); zespół hemofagocytowy (HLH); oporne na leczenie sterydami małopłytkowości i anemie hemolityczne; zespół POEMS	
7	Dalteparium natricum	leczenie i profilaktyka zakrzepicy tętniczej; diagnostyka niedoboru białka C i białka S; diagnostyka zespołu antyfosfolipidowego; leczenie i profilaktyka ostrych zespołów wieńcowych (w sytuacjach innych niż wymienione w charakterystyce produktu leczniczego)	
8	Danazolium	małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny (MDS)	
9	Desmopressinum (w stałej doustnej postaci leku)	choroba von Willebranda	
10	Dexamethasonum (w stałej doustnej postaci leku)	zespół aktywacji makrofagów (MAS); zespół hemofagocytarny (HLH); paliatywne leczenie MDS (zespół mielodysplastyczny); paliatywne leczenie przewlekłej białaczki mielomonocytovej (CMML); szpiczak mnogi (MM); oporne na inne leczenie małopłytkowości autoimmunizacyjne; niedokrwistości autoimmunohemolityczne	w opinii Rady Przejrzystości proszę o jednoznaczne wskazanie, które z wymienionych jednostek chorobowych mieszczą się w całości we wskazaniu refundacyjnym "we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji"

11	<b>Enoxaparinum natricum</b>	leczenie i profilaktyka zakrzepicy tętnicznej; diagnostyka niedoboru białka C i białka S; diagnostyka zespołu antyfosfolipidowego; leczenie i profilaktyka ostrych zespołów wieńcowych (w sytuacjach innych niż wymienione w charakterystyce produktu leczniczego)	
12	<b>Fluconazolum</b>	leczenie profilaktyczne u pacjentów z zaburzeniami odporności lub chorobami rozrostowymi układu krwiotwórczego	
13	<b>Itrakonazolum</b>	leczenie zapobiegawcze (pierwotne lub wtórne) u pacjentów po autologicznym lub allogenicznym przeszczepie szpiku; leczenie profilaktyczne u pacjentów z zaburzeniami odporności lub chorobami rozrostowymi układu krwiotwórczego	
14	<b>Methylprednisolonum (w stałej doustnej postaci leku)</b>	zespół aktywacji makrofagów (MAS); zespół hemofagocytowy (HLH); paliatywne leczenie MDS (zespół mielodysplastyczny); paliatywne leczenie przewlekłej białaczki mielomonocytovej (CMML); małopłytkowość autoimmunizacyjna; zespół hypereozynofilowy (HES); LGL Leukemia (Białaczka z dużych granularnych limfocytów T - Large granular lymphocytic leukemia); PRCA (Wybiórcza aplazja układu czerwonekrwinkowego; Pure red cell aplasia)	w opinii Rady Przejrzystości proszę o jednoznaczne wskazanie, które z wymienionych jednostek chorobowych mieszczą się w całości we wskazaniu refundacyjnym "we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji"
15	<b>Nadroparinum calcium</b>	leczenie i profilaktyka zakrzepicy tętnicznej; diagnostyka niedoboru białka C i białka S; diagnostyka zespołu antyfosfolipidowego; leczenie i profilaktyka ostrych zespołów wieńcowych (w sytuacjach innych niż wymienione w charakterystyce produktu leczniczego)	
16	<b>Phenoxymethylpenicillinum</b>	leczenie zapobiegawcze u pacjentów po autologicznym lub allogenicznym przeszczepie szpiku; leczenie profilaktyczne u pacjentów z zaburzeniami odporności lub chorobami rozrostowymi układu krwiotwórczego	
17	<b>Prednisonum</b>	paliatywne leczenie MDS (zespół mielodysplastyczny); paliatywne leczenie przewlekłej białaczki mielomonocytovej (CMML); małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół hypereozynofilowy (HES) oporny na leczenie; LGL Leukemia (Białaczka z dużych granularnych limfocytów T - Large granular lymphocytic leukemia); PRCA (Wybiórcza aplazja układy czerwonekrwinkowego; Pure red cell aplasia) - w sytuacjach innych niż wymienione w charakterystyce produktu leczniczego	w opinii Rady Przejrzystości proszę o jednoznaczne wskazanie, które z wymienionych jednostek chorobowych nie mieszczą się we wskazaniu refundacyjnym "nowotwory złośliwe" albo we wskazaniu refundacyjnym "we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji"
18	<b>Ticlopidinum</b>	w profilaktyce zakrzepicy w przebiegu chorób mieloproliferacyjnych	

lp	Substancja czynna	Zakres wskazań objętych zleceniem
1	<b>Aciclovirum (w stałej doustnej postaci leku)</b>	profilaktyka zakażenia wirusami Herpes u biorców przeszczepów
2	<b>Acidum mycophenolicum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
3	<b>Azathioprinum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek

4	<b>Ciclosporinum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
5	<b>Everolimusum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
6	<b>Mycophenolas mofetil</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
7	<b>Sirolimusum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
8	<b>Tacrolimusum</b>	stan po przeszczepie kończyny, twarzy, rogówki, tkanek lub komórek
9	<b>Valganciclovirum</b>	zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, twarzy, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości wydała opinię jak na wstępie.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

#### Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem opracowań Agencji Oceny Technologii Medycznych:

1. Opracowanie dla Rady Przejrzystości nr AOTM-OT-434-13/2012 „Budesonid w leczeniu jelitowej postaci choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi”, czerwiec 2012.
2. „Stosowanie leków w hematologii i kardiologii przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż w CHPL”. Materiały informacyjne. Dział Rekomendacji Biura Prezesa, czerwiec 2012.
3. „Stosowanie leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w CHPL. Aciclovirum (w stałej doustnej postaci leku)”, Acidum mycophenolicum, Azathioprinum, Ciclosporinum, Everolimusum, Mycophenolas mofetil, Sirolimusum, Tacrolimusum, Valganciclovirum. Materiały informacyjne. Dział Rekomendacji Biura Prezesa, czerwiec 2012.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. opracowaniu:

1. Opinia eksperta przedstawiona podczas posiedzenia Rady w dniu 11.06.2012 r.