



Opinia Rady Przejrzystości

nr 120/2014 z dnia 5 maja 2014 r.

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne cyclophosphamidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne dalsze finansowanie produktów leczniczych zawierających substancję czynną cyklofosfamid w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w: zespole hemofagocytowym, zespole POEMS, małopłytkowościach i anemiach hemolitycznych opornych na leczenie kortykosteroidami. Lek powinien być dostępny dla chorych za odpłatnością ryczałtową, w ramach istniejącej grupy limitowej: 117.1, Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki alkilujące – cyklofosfamid.

Uzasadnienie

Ze względu na bardzo dużą różnorodność i złożoność ocenianych wskazań wyciągnięcie wspólnego wniosku co do skuteczności cyklofosfamidu w ocenianych wskazaniach pozarejestacyjnych jest trudne. Zespół hemofagocytowy i zespół POEMS należą do chorób rzadkich. Wydaje się jednak, iż ze względu na wieloletnie doświadczenie kliniczne z tym lekiem, cyklofosfamid powinien być dostępny jako jedna z alternatyw w leczeniu szerokiej grupy chorych. Tym samym Rada Przejrzystości podtrzymuje stanowisko dotyczące powyższej technologii wyrażone w opinii nr 351/2013 z dnia 10 grudnia 2013 roku. Brak jest nowych lub dodatkowych dowodów naukowych, które mogłyby w zasadniczy sposób wpłynąć na opinię Rady w tym zakresie.

Słabej jakości dowody naukowe, najczęściej małe badania kohortowe lub serie przypadków, wskazują na możliwą użyteczność cyklofosfamidu w wyżej wymienionych wskazaniach, zwykle w kolejnej linii leczenia lub jako alternatywa dla terapii podstawowej. Lek jest wymieniany w rekomendacjach niektórych narodowych i międzynarodowych towarzystw naukowych jako możliwie użyteczny w terapii zespołu hemofagocytowego, zespołu POEMS i samoistnej plamicy małopłytkowej.



Lek jest obecnie dostępny dla chorych za odpłatnością ryczałtową, w ramach istniejącej grupy limitowej 117.1, Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki alkilujące – cyklofosfamid.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie MZ-PLA-460-15020-950/ISU/14 z dnia 24.04.2014r. dotyczyło produktów leczniczych wymienionych w poniższej tabeli.

Lp.	Substancja czynna	Nazwa, postać, zawartość opakowania, kod EAN	Wnioskowane wskazanie pozarejestrycyjne
1	Acidum mycophenolicum	Myfortic, tabl. dojel., 360 mg, 120 tabl., 5909990219209	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
2		Myfortic, tabl. dojel., 180 mg, 120 tabl., 5909990219797	
3	Azathioprinum	Azathioprine VIS, tabl., 50 mg, 50 tabl., 5909990232819	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
4		Azathioprine VIS, tabl., 50 mg, 30 tabl., 5909990232826	
5		Imuran, tabl. powl., 25 mg, 100 tabl., (4 blist.po 25 szt.), 5909990144211	
6		Imuran, tabl. powl., 50 mg, 100 tabl., (4 blist.po 25 szt.), 5909990277810	
7	Budesonidum	Entocort, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 3 mg, 100 kaps., 5909990430314	postać jelitowa choroby przeszczep przeciwko gospodarzowi
8	Ciclosporinum	Cyclaid, kaps. miękkie, 25 mg, 50 kaps., 5909990787289	apłazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza apłazja układu czerwonekrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy; małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny - leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
9		Cyclaid, kaps. miękkie, 50 mg, 50 kaps., 5909990787357	
10		Cyclaid, kaps. miękkie, 100 mg, 50 kaps., 5909990787463	
11		Equoral, kaps. elastyczne, 25 mg, 50 kaps., (5 blist.po 10 szt.), 5909990946426	
12		Equoral, kaps. elastyczne, 50 mg, 50 kaps., (5 blist.po 10 szt.), 5909990946525	
13		Equoral, kaps. elastyczne, 100 mg, 50 kaps., (5 blist.po 10 szt.), 5909990946624	
14		Equoral, roztwór doustny, 100 mg/ml, 50 ml, 5909990946716	
15		Sandimmun Neoral, kaps. elastyczne, 25 mg, 50 kaps., 5909990336616	
16		Sandimmun Neoral, kaps. elastyczne, 50 mg, 50 kaps., 5909990336715	
17		Sandimmun Neoral, kaps. elastyczne, 100 mg, 50 kaps., 5909990336814	
18		Sandimmun Neoral, roztwór doustny, 100 mg/ml, 50 ml, 5909990336913	
19	Sandimmun Neoral, kaps. elastyczne, 10 mg, 60 kaps., 5909990406111		
20	Cyclophosphamidum	Endoxan, drażetki, 50 mg, 50 draż., 5909990240814	zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami
21	Danazolium	Danazol Jelfa, tabl., 200 mg, 100 tabl., 5909990282517	małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny
22		Danazol Polfarmex, tabl., 200 mg, 100 tabl. (fiol.), 5909990925339	
23	Everolimusum	Certican, tabl., 0,5 mg, 60 tabl., 5909990211357	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
24		Certican, tabl., 0,25 mg, 60 tabl., 5909990211654	
25		Certican, tabl., 0,75 mg, 60 tabl., 5909990211845	

Lp.	Substancja czynna	Nazwa, postać, zawartość opakowania, kod EAN	Wnioskowane wskazanie pozarejestrycyjne
26	Itraconazolum	Itragen, kaps. twarde, 100 mg, 28 kaps., 5909990617463	zakażenia grzybicze u pacjentów po przeszczepie szpiku – profilaktyka
27		Itrax, kaps. twarde, 100 mg, 4 kaps., 5909990858255	
28		Itrax, kaps. twarde, 100 mg, 28 kaps., 5909990858262	
29		Orungal, kaps., 100 mg, 4 kaps., 5909990004317	
30		Orungal, kaps., 100 mg, 28 kaps., 5909990004331	
31		Trioxal, kaps., 100 mg, 4 kaps., 5909991053819	
32		Trioxal, kaps., 100 mg, 28 kaps. (4 blist.po 7 szt.), 5909991053826	
33	Sirolimusum	Rapamune, roztwór doustny, 1 mg/ml, 60 ml (but.+30 strzyk.), 5909990893645	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
34		Rapamune, tabl. powł., 1 mg, 30 tabl., 5909990985210	
35	Sulfamethoxazolium + Trimethoprimum	Bactrim, syrop, 200+40 mg/5 ml, 100 ml, 5909990312610	zakażenia u pacjentów po przeszczepie szpiku – profilaktyka; zakażenie Pneumocystis jirovecii u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka
36		Biseptol, zawiesina doustna, 200+40 mg/5 ml, 100 ml, 5909990117819	
37		Biseptol 120, tabl., 100+20 mg, 20 tabl. (blist.), 5909990117529	
38		Biseptol 480, tabl., 400+80 mg, 20 tabl., 5909990117611	
39		Biseptol 960, tabl., 800+160 mg, 10 tabl. (blist.), 5909990117710	
40	Tacrolimusum	Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 0,5 mg, 30 kaps., 5909990051052	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
41		Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 1 mg, 5909990051076	
42		Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 5 mg, 30 kaps., 5909990051137	
43		Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 3 mg, 30 kaps., 5909990699957	
44		Cidimus, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 kaps., 5909990783489	
45		Cidimus, kaps. twarde, 5 mg, 30 kaps., 5909990783533	
46		Cidimus, kaps. twarde, 1 mg, 30 kaps., 5909990783571	
47		Prograf, kaps. twarde, 1 mg, 30 kaps., (3 blist.po 10 szt.), 5909990447213	
48		Prograf, kaps. twarde, 5 mg, 30 kaps., (3 blist.po 10 szt.), 5909990447312	
49		Prograf, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 kaps., (3 blist.po 10 szt.), 5909991148713	
50		Tacni, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 kaps., 5909990821228	
51		Tacni, kaps. twarde, 1 mg, 30 kaps., 5909990821006	
52		Tacni, kaps. twarde, 5 mg, 30 kaps., 5909990821280	
53		Taliximun, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 kaps. (3 blist.po 10 szt.), 5909990836857	
54		Taliximun, kaps. twarde, 1 mg, 30 kaps. (3 blist.po 10 szt.), 5909990836888	
55		Taliximun, kaps. twarde, 5 mg, 30 kaps. (3 blist.po 10 szt.), 5909990836949	
56		Valganciclovirum	

Lp.	Substancja czynna	Nazwa, postać, zawartość opakowania, kod EAN	Wnioskowane wskazanie pozarejestrycyjne
			kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania stanowiska

Opinię wydano na podstawie art. 40 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 Nr 122 poz. 696 z późn. zm.), w związku z art. 31n pkt 5 oraz art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 roku, Nr 164 poz. 1027, z późn. zm.).