



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 221/2014 z dnia 28 lipca 2014 r.

w sprawie zasadności finansowania produktu leczniczego Noxafil (posaconazolum) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada uważa za zasadne finansowanie produktu leczniczego Noxafil (posaconazolum) w zakresie następujących wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego:*

- jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny (MDS) u pacjentów <18 r.ż. przygotowujących do przeszczepienia komórek krwiotwórczych;*
- jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: u pacjentów <18 r.ż. w przewlekłej chorobie ziarniniakowej (D71) charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych;*
- jako lek dostępny na receptę, we wskazaniu: we wtórnej profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów <18 r.ż., ukierunkowanej na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego;*
- jako lek dostępny na receptę: pacjenci <18 r.ż. z ostrą białaczką limfoblastyczną wysokiego ryzyka, z nawrotem ostrej białaczki limfoblastycznej lub ostrej białaczki szpikowej.*

**Uzasadnienie**

*Obecna rekomendacja jest zgodna z wcześniejszym stanowiskiem RP z 24 marca 2014 r. zalecającym ograniczenie finansowania leku Noxafil (posaconazolum) do grup najwyższego ryzyka zakażenia aspergilozą i nietolerujących flukonazolu lub itraconazolu. Rada zwraca uwagę, że dane naukowe dotyczące bezpieczeństwa stosowania leku w grupie chorych poniżej 13 r. ż. są ograniczone.*

*Noxafil (posaconazol) jest lekiem stosowanym, zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego, w leczeniu wybranych inwazyjnych zakażeń grzybiczych u*



*dorosłych. Ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania tego leku u pacjentów poniżej 18 roku życia oparta jest o dowody naukowe miernej i niskiej jakości, pochodzące głównie z analizy podgrup chorych pediatrycznych biorących udział w badaniach z udziałem dorosłych, badań retrospektywnych lub opisów przypadków. Skuteczność i bezpieczeństwo stosowania posaconazolu w porównaniu z itraconazolem i voriconazolem w profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych w populacji pediatrycznej oceniono w badaniu retrospektywnym z udziałem 150 chorych: oceniane leki wykazały podobną skuteczność [1]. Europejskie rekomendacje kliniczne, sformułowane w oparciu o systematyczny przegląd piśmiennictwa, dopuszczają stosowanie posaconazolu w omawianych wskazaniach pod warunkiem ograniczenia stosowania leku do chorych w wieku 13 lub więcej lat [2,3].*

### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia, pismo MZ-PLA-460-17140-7/AD/14, dotyczyło przygotowania, 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. 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.), opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 roku, Nr 45, poz. 271, z późn. zm.) w zakresie leczniczego Noxafil (posaconazolium, zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244) we wskazaniach zgodnych z poniższą tabelą.

Subst. czynna	Nazwa, postać, zawartość, opakowania, kod EAN	Wskazania pozarejestrycyjne objęte refundacją, których dotyczy niniejsza opinia
Posaconazolium	Noxafil, zawiesina doustna 40 mg/ml, 105 ml, kod EAN: 5909990335244	jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: zespół mielodysplastyczny (MDS) u pacjentów <18 r.ż. przygotowywanych do przeszczepienia komórek krwiotwórczych
		jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: u pacjentów <18 r.ż. w przewlekłej chorobie ziarniniakowej (D17) charakteryzującej się wysoką częstością grzybiczych zakażeń narządowych
		jako lek dostępny w aptece, we wskazaniu: we wtórnej profilaktyce przeciwgrzybiczej po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych u pacjentów <18 r.ż., ukierunkowanej na wcześniej występujące zakażenia grzybicze, do czasu stabilnego wszczepienia i zakończenia leczenia immunosupresyjnego
		jako lek dostępny w chemioterapii: pacjenci <18 r.ż. z ostrą białaczką limfoblastyczną wysokiego ryzyka, z nawrotem ostrej białaczki limfoblastycznej lub ostrej białaczki szpikowej

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasiński

**Tryb wydania stanowiska**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy 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. 31s ust. 6 p. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.).

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

1. Doring M I wsp. Comparison of itraconazole, voriconazole, and posaconazole as oral antifungal prophylaxis in pediatric patients following allogeneic hematopoietic stem cell transplantation. *Eur J Clin Microbiol Infect Dis.* 2014 Apr;33(4):629-38
2. Science M I wsp. Guideline for primary antifungal prophylaxis for pediatric patients with cancer or hematopoietic stem cell transplant recipients. *Pediatr Blood Cancer.* 2014 Mar;61(3):393-400.
3. Groll AH I wsp. Fourth European Conference on Infections in Leukaemia (ECIL-4): guidelines for diagnosis, prevention, and treatment of invasive fungal diseases in paediatric patients with cancer or allogeneic haemopoietic stem-cell transplantation. *Lancet Oncol.* 2014 Jul;15(8):e327-e340.