



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 161/2015 z dnia 30 lipca 2015 r.

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leku Rapamune zawierającego substancję czynną sirolimus w zakresie wskazania do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego: zespół gumiatych zmian barwnikowych.

Uzasadnienie

Dane kliniczne dotyczące zastosowania syrolimusu w leczeniu zespołu gumiatych zmian barwnikowych są bardzo skąpe i ograniczają się do pojedynczych opisów przypadków. W związku z powyższym na podstawie dostępnych danych nie jest możliwe określenie skuteczności syrolimusu we wnioskowanym wskazaniu:

- nie odnaleziono wytycznych opisujących leczenie ocenianego wskazania. W leczeniu zespołu gumiatych zmian barwnikowych nie ma optymalnej terapii. W publikacjach jako możliwe opcje terapeutyczne wymienione są leczenie chirurgiczne, skleroterapia, stosowanie różnych leków – kortykosteroidów propranololu, interferonu alfa, syrolimusu;*
- nie odnaleziono żadnych rekomendacji klinicznych i refundacyjnych odnoszących się do omawianego zespołu.;*
- nie odnaleziono żadnych przeglądów systematycznych dotyczących zespołu gumiatych zmian barwnikowych;*
- odnaleziono badania pierwotne – 6 opisów przypadków, przy czym tylko jedna z włączonych referencji jest pełnotekstową publikacją (Yuksekkaya 2012), dwie z nich to listy do redakcji (Ozgonenel 2015, Ferres-Ramis 2015), a 3 to abstrakty (Cardoso 2014 Akyuz 2014, Avar 2013). Tylko u części opisanych w nich pacjentów zdiagnozowano zespół gumiatych zmian barwnikowych. Większość chorych była dziećmi, a ze względu na*



niewystarczające doświadczenie produkt Rapamune nie jest zalecany do stosowania u dzieci i młodzieży, także w zarejestrowanym wskazaniu.

Terapia syrolimusem wiązała się z: zmniejszeniem liczby krwawień z przewodu pokarmowego normalizacją poziomu hemoglobiny poprawą zmian skórnych poprawą jakość życia, nie odnotowano jednak różnicy w wielkości zmian skórnych i w zmian w jamie ustnej po roku terapii.

Próba stosowania syrolimusu w leczeniu zespołu gumiastych zmian barwnikowych wynika z jego mechanizmu działania na kinazę mTOR – sirolimus hamuje aktywność mTOR, zapobiega syntezie białek, następczej proliferacji i wzrostowi komórek, obniża produkcję czynnika wzrostu śródbłonna naczyniowego – VEGF, hamuje odpowiedź komórek na VEGF oraz hamuje angiogenezę, jednak ocena wartości tej terapii wymaga dalszej obserwacji i zebrania większej liczby danych.

Ewentualne leczenie mogłoby być dostępne w warunkach ściśle kontrolowanych.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4600.279.2015.2.DJ z dnia 24 lipca 2015 r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków wymienionych w tabeli poniżej i wskazania: zespół gumiastych zmian barwnikowych.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, Zawartość opakowania, kod EAN
Sirolimusum	Rapamune, roztwór doustny, 1mg/ml, 60 ml (but. + 30 strzyk.), 5909990893645
	Rapamune, tabl. powlekane, 1mg, 30 tabl., 5909990985210

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 581).

Wykorzystane źródła danych:

1. Rapamune (sirolimusum) we wskazaniu: zespół gumiastych zmian barwnikowych. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie oceny zasadność finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, Raport nr: AOTMiT-OT-434-18/2015, 29 lipca 2015 r.