



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 148/2016 z dnia 16 maja 2016 roku

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

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną danazol w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, zgodnie z poniższą tabelą:*

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, Zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
danazol	Danazol Polfarmex, tabl., 200 mg, 100 szt. (1 poj.po 100 szt), 5909990925339	<ul style="list-style-type: none"><li>- małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie;</li><li>- zespół mielodysplastyczny</li></ul>

#### Uzasadnienie

*W opinii nr 352/2013 z dnia 10 grudnia 2013 r. Rada Przejrzystości uznała za zasadne utrzymanie finansowania produktu leczniczego zawierającego danazol w zakresie następujących wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie oraz zespół mielodysplastyczny.*

*Dowody naukowe potwierdzające skuteczność danazolu w wyżej wymienionych wskazaniach są bardzo ograniczone i dotyczą przede wszystkim poprawy krótkoterminowej. Nie uległy jednak istotnej zmianie od ukazania się poprzedniej opinii Rady. W niektórych rekomendacjach krajowych i międzynarodowych lek jest zalecany przede wszystkim w 2 i 3 linii leczenia. W analizach klinicznych nie ujawniono istotnych nowych danych dotyczących zmiany profilu bezpieczeństwa stosowania danazolu. Tym samym brak jest dodatkowych dowodów naukowych, które mogłyby w zasadniczy sposób wpłynąć na zmianę wcześniejszej opinii Rady, która podtrzymuje swoje stanowisko, iż jest to lek tradycyjnie stosowany w Polsce w wymienionych*



wskazaniach i nie ma dobrych racji klinicznych, aby zaniechać jego stosowania u starannie wybranych chorych. Dodatkowo, wydatki na refundację leków zawierających danazol maleją rok do roku. Z uwagi na spadkowy trend w stosowaniu, wydaje się mało prawdopodobne, aby kontynuacja refundacji ocenianego leku spowodowała wzrost wydatków płatnika publicznego, jednak w przypadku zaprzestania jego refundacji w tych wskazaniach znacząco wzrosną koszty jednostkowe po stronie pacjenta.

### Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4600.306.2016.1.ISU z dnia 06.05.2016r., dotyczyło wydania opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęci refundacją leków przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie leków i wskazań wymienionych w tabeli poniżej.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
acidum mycophenolicum	Myfortic, tabl. dojel., 180 mg, 120 szt. (12 blist. po 10 szt.), 5909990219797	
	Myfortic, tabl. dojel., 360 mg, 120 szt. (12 blist. po 10 szt.), 5909990219209	
azathioprinum	Azathioprine VIS, tabl., 50 mg, 50 szt. (1 stoik po 50 szt.), 5909990232819	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
	Azathioprine VIS, tabl., 50 mg, 30 szt. (1 stoik po 30 szt.), 5909990232826	
	Imuran, tabl. powł., 50 mg, 100 szt. (4 blist. po 25 szt.), 5909990277810	
ciclosporinum	Cyclaid, kaps. miękkie, 100 mg, 50 kaps., 5909990787463	<ul style="list-style-type: none"> <li>- aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego;</li> <li>- białaczka z dużych granulanych limfocytów T;</li> <li>- wybiórcza aplazja układu czerwono krwinkowego;</li> <li>- zespół aktywacji makrofagów;</li> <li>- zespół hemofagocytowy;</li> <li>- małopłytkowość oporna na leczenie;</li> <li>- zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne;</li> <li>- stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek</li> </ul>
	Cyclaid, kaps. miękkie, 25 mg, 50 kaps., 5909990787289	
	Cyclaid, kaps. miękkie, 50 mg, 50 kaps., 5909990787357	
	Equoral, kaps. elastyczne, 100 mg, 50 szt. (5 blist. po 10 kaps.), 5909990946624	
	Equoral, roztwór doustny, 100 mg/ml, 50 ml, 5909990946716	
	Equoral, kaps. elastyczne, 25 mg, 50 szt. (5 blist. po 10 szt.), 5909990946426	
	Equoral, kaps. elastyczne, 50 mg, 50 szt. (5 blist. po 10 kaps.), 5909990946525	
	Sandimmun Neoral, kaps. miękkie, 10 mg, 60 szt., 5909990406111	
	Sandimmun Neoral, kaps. miękkie, 100 mg, 50 szt., 5909990336814	
	Sandimmun Neoral, roztwór doustny, 100 mg/ml, but. 50 ml, 5909990336913	
	Sandimmun Neoral, kaps. miękkie, 25 mg, 50 szt., 5909990336616	
Sandimmun Neoral, kaps. miękkie, 50 mg, 50 szt., 5909990336715		
colistinum	Colistin TZF, liofilizat do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, infuzji i inhalacji, 1000000 IU, 20 fiolek, 5909990366514	<ul style="list-style-type: none"> <li>- zakażenia dolnych dróg oddechowych – profilaktyka u osób po przeszczepie płuc w przebiegu chorób innych niż mukowiscydoza;</li> <li>- zakażenia dolnych dróg oddechowych – leczenie wspomagające w skojarzeniu z</li> </ul>

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
		antybiotykoterapią dożylną u osób po przeszczepie płuc w przebiegu chorób innych niż mukowiscydoza
cyclophosphamidum	Endoxan, tabl. drażowane, 50 mg, 50 szt. (5 blist.po 10 szt.), 5909990240814	<ul style="list-style-type: none"> <li>- zespół hemofagocytowy</li> <li>- zespół POEMS;</li> <li>- małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami;</li> <li>- anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami;</li> </ul>
danazolium	Danazol Polfarmex, tabl., 200 mg, 100 szt. (1 poj.po 100 szt), 5909990925339	<ul style="list-style-type: none"> <li>- małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie;</li> <li>- zespół mielodysplastyczny</li> </ul>
everolimusum	Certican, tabl., 0,5 mg, 60 tabl., (6 blist.po 10 szt.) 5909990211357	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek
	Certican tabletki, tabl., 0,25 mg, 60 szt. (6 blist.po 10 szt.), 5909990211654	
	Certican tabletki, tabl., 0,75 mg, 60 szt. (6 blist.po 10 szt.), 5909990211845	
itraconazolum	Ipozumax, kaps. twarde, 100 mg, 4 szt., 5909991183882	zakażenia grzybicze u pacjentów po przeszczepie szpiku – profilaktyka
	Ipozumax, kaps. twarde, 100 mg, 28 szt., 5909991183899	
	Itragen, kaps. twarde, 100 mg, 28 szt., 5909990617463	
	Itrax, kaps. twarde, 100 mg, 4 szt., 5909990858255	
	Itrax, kaps. twarde, 100 mg, 28 szt., 5909990858262	
	Itrokast, kaps. Twarde, 100 mg, 28 szt., 5909991140533	
	Orungal, kaps., 100 mg, 4 szt. (1 blist.po 4 szt.), 5909990004317	
	Orungal, kaps., 100 mg, 28 szt. (7 blist.po 4 szt.), 5909990004331	
	Trioxal, kaps., 100 mg, 28 szt. (4 blist.po 7 szt.), 5909991053826	
Trioxal, kaps., 100 mg, 4 szt. (1 blist.po 4 szt.), 5909991053819		
sirolimusum	Rapamune, tabl. draż., 1 mg, 30 szt., 5909990985210	<ul style="list-style-type: none"> <li>- stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek;</li> <li>- stwardnienie guzowate;</li> <li>- limfangioleiomiomatoza;</li> <li>- nowotwór z epителиoidnych komórek przynacznyniowych;</li> </ul>
	Rapamune, roztwór doustny, 1 mg/ml, 60 ml (but.+30 strzyk.), 5909990893645	
sulfamethoxazolum + trimethoprimum	Bactrim, syrop, 200+40 mg/5 ml, 1 but.po 100 ml, 5909990312610	<ul style="list-style-type: none"> <li>- zakażenia u pacjentów po przeszczepie szpiku – profilaktyka;</li> <li>- zakażenie Pneumocystis jirovecii u pacjentów z niedoborami odporności – profilaktyka;</li> </ul>
	Biseptol, zawiesina doustna, 200+40 mg/5 ml, 1 but.po 100 ml, 5909990117819	
	Biseptol 120, tabl., 100+20 mg, 20 szt. (1 blist.po 20 szt.), 5909990117529	
	Biseptol 480, tabl., 400+80 mg, 20 szt. (1 blist.po 20 szt.), 5909990117611	
	Biseptol 480, tabl., 400+80 mg, 20 szt. (1 blist.po 20 szt.), 5909997231563	

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
	Biseptol 480, tabl., 400+80 mg, 20 szt. (1 blist.po 20 szt.), 5909991192341	
	Biseptol 480, tabl., 400+80 mg, 20 szt. (1 blist.po 20 szt.), 5909991232092	
	Biseptol 960, tabl., 800+160 mg, 10 szt. (1 blist.po 10 szt.), 5909990117710	
tacrolimusum	Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 0,5 mg, 30 szt., 5909990051052	stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek;
	Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 1 mg, 30 szt., 5909990051076	
	Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 3 mg, 30 szt., 5909990699957	
	Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 5 mg, 30 szt., 5909990051137	
	Cidimus, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 szt., 5909990783489	
	Cidimus, kaps. twarde, 1 mg, 30 szt., 5909990783571	
	Cidimus, kaps. twarde, 5 mg, 30 szt., 5909990783533	
	Envarsus, tabl. o przedł. uwalnianiu, 0,75 mg, 30 szt., 5909991192709	
	Envarsus, tabl. o przedł. uwalnianiu, 1 mg, 30 szt., 5909991192730	
	Envarsus, tabl. o przedł. uwalnianiu, 1 mg, 90 szt. 5909991192754	
	Envarsus, tabl. o przedł. uwalnianiu, 4 mg, 30 szt. 5909991192761	
	Prograf, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 szt. (3 blist.po 10 szt.) 5909991148713	
	Prograf, kaps. twarde, 1 mg, 30 szt. (3 blist.po 10 szt.), 5909990447213	
	Prograf, kaps. twarde, 5 mg, 30 szt. (3 blist.po 10 szt.), 5909990447312	
	Tacni, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 szt., 5909990821006	
	Tacni, kaps. twarde, 1 mg, 30 szt., 5909990821228	
	Tacni, kaps. twarde, 5 mg, 30 szt., 5909990821280	
	Taliximun, kaps. twarde, 0,5 mg, 30 szt., 5909990836857	
	Taliximun, kaps. twarde, 1 mg, 30 szt., 5909990836888	
	Taliximun, kaps. twarde, 5 mg, 30 szt., 5909990836949	
valganciclovirum	Ceglar, tabl. powl., 450 mg, 60 szt., 5909991207229	zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie;
	Valcyte, tabl. powl., 450 mg, 60 szt. (1 but.po 60 szt.), 5909990727407	zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie - w przypadku udokumentowanych przeciwwskazań do stosowania walgancyklowiru w stałej doustnej postaci farmaceutycznej
	Valcyte, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 50 mg/ml, 1 but.po 12 g, 5902768001082	

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
vigabatrinum	Sabril, tabl. powl., 500 mg, 100 szt., 5909990312818	stany napadowe w przebiegu stwardnienia guzowatego – monoterapia
	Sabril, granulat do sporządzania roztworu doustnego, 500 mg, 50 sasz., 5909990832712	

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**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 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, raport nr BP.434.10.2016 „Danazol we wskazaniach pozarejestrycyjnych: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie, zespół mielodysplastyczny (MDS)”. Data ukończenia maj 2016 r.