



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 205/2017 z dnia 17 lipca 2017 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: zespół gumiatych zmian barwnikowych

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimusum, przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: zespół gumiatych zmian barwnikowych.

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
sirolimusum	Rapamune, roztwór doustny, 1mg/ml, 60 ml (but.+30 strzyk.), kod EAN: 5909990893645	zespół gumiatych zmian barwnikowych
	Rapamune, tabl. draż., 1 mg, 30 szt., kod EAN: 5909990985210	

Uzasadnienie

Głównym ograniczeniem analizy jest niska jakość (opisy przypadków) i mała liczba dowodów naukowych, przy jednoczesnym braku badań klinicznych. Całość dowodów skuteczności leku w przypadkach bardzo ciężkich postaci choroby, obejmuje 15 opisów przypadków/serii przypadków, które dotyczyły tylko 24 pacjentów z ocenianym wskazaniem, głównie osoby niepełnoletnie. Należy podkreślić, że zgodnie z ChPL „ze względu na niewystarczające doświadczenie produkt Rapamune nie jest zalecany do stosowania u dzieci i młodzieży”. Z uwagi na powyższe, niezbędne są dalsze badania prospektywne w celu oceny długofalowego efektu i profilu bezpieczeństwa, a także w celu określenia czasu trwania terapii sirolimusem w tej grupie pacjentów. Lek ma wiele działań niepożądanych, m.in. obniża odporność i może predysponować do infekcji wirusowych, bakteryjnych i grzybiczych, powoduje hiperlipidemię i utrudnia gojenie ran. Najczęściej raportowane działania niepożądane (występujące u >10% pacjentów) to trombocytopenia, niedokrwistość, gorączka, nadciśnienie, hipokaliemia, hipofosfatemia, zakażenia układu moczowego, hipercholesterolemia, hiperglikemia, hipertriglicydemia, ból brzucha, torbiele limfatyczne, obrzęki obwodowe, bóle



stawów, trądzik, biegunka, bóle brzucha, zaparcie, nudności, ból głowy, zwiększone stężenie kreatyniny we krwi i wzrost aktywności dehydrogenazy mleczanowej we krwi (LDH). Częstość występowania każdego z działań niepożądanych może się zwiększać wraz ze wzrostem stężenia minimalnego sirolimusu we krwi. Pozytywna opinia Rady mogłaby spowodować niekontrolowane nadużywanie Rapamune w omawianym wskazaniu.

W związku z powyższym, Rada postanowiła podtrzymać negatywną opinię z 2015 roku.

Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.536.2017.1.ISO z dnia 03.07.2017 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 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
cyproteronum	Androcur, tabl., 50 mg, 20 szt. (2 blist.po 10 szt.), kod EAN: 5909990657476	F64.0 (wg ICD-10)
	Androcur, tabl., 50 mg, 50 szt. (5 blist.po 10 szt.), kod EAN: 5909990657483	
cyproteronum + ethinyloestradiolum	Cyprodiol, tabl. powl., 2+0,035 mg, 21 szt., kod EAN: 5909991039486	
	Cyprodiol, tabl. powl., 2+0,035 mg, 63 szt., kod EAN: 5909991039509	
	Diane-35, tabl. powl., 2+0,035 mg, 21 szt. (1 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990222216	
	Diane-35, tabl. powl., 2+0,035 mg, 63 szt. (3 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990222230	
	OC-35, tabl. powl., 2+0,035 mg, 21 szt. (1 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990046171	
	OC-35, tabl. powl., 2+0,035 mg, 63 szt. (3 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990046188	
	Syndi-35, tabl. drażowane, 2+0,035 mg, 21 szt. (1 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990037773	
	Syndi-35, tabl. drażowane, 2+0,035 mg, 63 szt. (3 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990086788	
estradiolum	Climara-50, system transdermalny, 50 µg/24h, 4 szt., kod EAN: 5909990458318	
	Divigel 0,1%, żel, 0,5 mg/0,5 g, 28 szt., kod EAN: 5909990447619	
	Divigel 0,1%, żel, 1 mg/g, 28 szt., kod EAN: 5909990447718	
	Estrofem, tabl. powl., 2 mg, 28 tabl., kod EAN: 5909990330713	
	Estrofem mite, tabl. powl., 1 mg, 28 tabl., kod EAN: 5909990823215	
	Fem 7, system transdermalny, 50 µg/24h, 4 szt., kod EAN: 5909990774616	
	Oesclim 25, system transdermalny, 25 µg/24h, 6 szt., kod EAN: 5909990761517	
	Oesclim 50, system transdermalny, 50 µg/24h, 6 szt., kod EAN: 5909990761616	
	Progynova-21, tabl. powl., 2 mg, 21 szt. (1 blist.po 21 szt.), kod EAN: 5909990304110	
	System 50, system transdermalny, plaster, 3,2 mg, 6 szt., kod EAN: 5909990169214	
testosteronum	Undestor Testocaps, kaps., 40 mg, 60 szt. (6 blist.po 10 szt.), kod EAN: 5909990665082	

Substancja czynna	Nazwa, postać i dawka leku, zawartość opakowania, kod EAN	Wskazanie
sirolimusum	Rapamune, roztwór doustny, 1mg/ml, 60 ml (but.+30 strzyk.), kod EAN: 5909990893645	zespół gumiastych zmian barwnikowych
	Rapamune, tabl. draż., 1 mg, 30 szt., kod EAN: 5909990985210	

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.)