



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Opinia Rady Przejrzystości  
nr 125/2017 z dnia 15 maja 2017 roku  
w sprawie objęcia refundacją leku Pulmozyme (dornasum alfa)  
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,  
lub sposobu podawania odmiennych niż określone  
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Pulmozyme, roztwór do nebulizacji, 1 mg/ml, 30 amp.a 2,5 ml, kod EAN: 5909990375813, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: pierwotna dyskineza rzęsek.*

### Uzasadnienie

*Dornaza alfa jest to rekombinowana ludzka dezoksyrybonukleaza, wytwarzana przy użyciu metod inżynierii genetycznej, która jest odpowiednikiem ludzkiego enzymu, hydrolizującego DNA zawarte w płwocinie i znacznie zmniejszającego jej lepkość.*

*Istnieją bardzo słabe dowody naukowe na skuteczność u pacjentów z pierwotną dyskinezą rzęsek, ale są one stosowane w tej rzadkiej chorobie i są uważane za skuteczne w praktyce klinicznej. Dotychczasowe opinie Rady Przejrzystości były pozytywne.*

*Wytyczne Shapiro 2016 wskazują, iż dornaza alfa może być stosowana u wybranych pacjentów z pierwotną dyskinezą rzęsek, z zachowaniem ostrożności oraz monitorowaniem objawów niepożądanych. Natomiast w wytycznych Polineni 2015 dornaza alfa wymieniana jest wśród terapii niezalecanych w rutynowym leczeniu tej choroby. Wytyczne wskazują na możliwość rozważenia leczenia z zastosowaniem dornazy alfa u wybranych pacjentów.*

*Konsultant Krajowy w dziedzinie otolaryngologii dziecięcej uważa, że dornaza alfa powinna być refundowana w pierwotnej dyskinezie rzęsek. Nie istnieje technologia alternatywna dla zastosowania Pulmozyme w leczeniu pierwotnej dyskinezy rzęsek. Działania niepożądane występują rzadko, są odwracalne i zwykle nie powodują konieczności odstawienia leku.*



Zgodnie z danymi otrzymanymi od NFZ, produkt leczniczy Pulmozyme (dornasum alfa) we wskazaniach określonych powyższymi kodami ICD-10, były stosowane przez 121 pacjentów w 2015 r. oraz 141 pacjentów w 2016 r. Koszty refundacji Pulmozyme (dornasum alfa) wynosiły ok. 4 009 423 zł w 2015 r. oraz 4 116 818,30 zł w 2016 r. Wydatki te dotyczą jednak nie tylko pierwotnej dyskinezy rzęsek, lecz całej grupy chorób objętych kodem ICD-10.

### Przedmiot zlecenia

Zlecenie Ministra Zdrowia, zawarte w piśmie PLA.4604.356.2017.1.ISO z dnia 09.05.2017 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
Colistinum	Colistin TZF, liofilizat do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, infuzji i inhalacji, 1000000 IU, 20 fiol., kod EAN 5909990366514	pierwotna dyskineza rzęsek
Dornasum alfa	Pulmozyme, roztwór do nebulizacji, 1 mg/ml, 30 amp.a 2,5 ml, kod EAN: 5909990375813	pierwotna dyskineza rzęsek
Progesteronum	Luteina, tabletki dopochwowe, 50 mg, 30 tabl., kod EAN: 5909990569380	Profilaktyka i leczenie ciąży zagrożonej porodem przedwczesnym
	Luteina, tabletki dopochwowe, 100 mg, 30 tabl., kod EAN: 5909991076207	
	Luteina, tabletki dopochwowe, 100 mg, 60 tabl., kod EAN: 5909991103231	

.....  
 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.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr BOR.434.7.2017 „Kolistyna, dornaza alfa w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych”. Data ukończenia: maj 2017.