



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 105/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku

w sprawie substancji czynnych cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami

Rada Przejrzystości uważa za zasadną dalszą refundację leków zawierających substancję czynnych cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.

Uzasadnienie

W dniu 16 maja 2016 roku została wydana pozytywna Opinia Rady Przejrzystości nr 147/2016 w sprawie zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną cyklofosfamid, w tym samym wskazaniu.

W wyniku wyszukiwania aktualnych wytycznych klinicznych dotyczących leczenia zespołu hemofagocytowego, zespołu POEMS, małopłytkowości oraz anemii hemolitycznej, odnaleziono szereg nowych opracowań. W międzynarodowych wytycznych Histocyte Society – HS 2015, dotyczących leczenia zespołu hemofagocytowego związanego z nowotworem, cyklofosfamid został wymieniony jako jeden ze składowych chemioterapii, która może być skuteczna w tym wskazaniu. W zaleceniach Polskiej Grupy Szpiczakowej – PGSz 2017, dotyczących rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytozy oraz innych dyskrazji, wymieniono cyklofosfamid wśród najczęściej stosowanych leków w POEMS, którego stosowanie przyczynia się do poprawy klinicznej u ponad 50% chorych. W europejskiej rekomendacji EMN 2018 również wymieniono cyklofosfamid (w skojarzeniu z deksametazonem) i podano, że powoduje poprawę kliniczną u 50% pacjentów z POEMS. W europejskich wytycznych JWG 2018 (Niemcy/Szwajcaria/Austria) wymienia się cyklofosfamid jako lek stosowany w trzeciej linii leczenia małopłytkowości idiopatycznej po niepowodzeniu terapii glikokortykosteroidami, agonistami receptorów trombopoetyny i rytuksymabem. W zaleceniach zawartych w Praktyce hematologicznej – PH 2015 wymieniono cyklofosfamid jako opcję terapeutyczną w przypadku odpornej na wcześniejsze leczenie anemii hemolitycznej.



W zaleceniach PH 2015 odniesiono się do zastosowania cyklofosfamidu w leczeniu zespołu hemofagocytowego, małopłytkowości i anemii hemolitycznej, opornych na leczenie kortykosteroidami.

Odnalezione dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzedniego raportu odnośnie do możliwości stosowania cyklofosfamidu w ocenianych jednostkach chorobowych i jakości dowodów naukowych, co uzasadnia utrzymanie pozytywnej opinii Rady w sprawie refundacji leku cyklofosfamid.

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 leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego „Cyclophosphamidum we wskazaniach: zespół hemofagocytowy, zespół POEMS, małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami, anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami”, raport nr: OT.4321.11.2019; aneks do opracowania nr: OT.434.24.2016, data ukończenia: 10 kwietnia 2019 r.