



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 114/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku
w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu
pozarejestacyjnym: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek
lub komórek

Rada Przejrzystości uważa za zasadną dalszą refundację leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.

Uzasadnienie

Po transplantacji kończyny, rogówki, tkanek lub komórek stosuje się podobne leki immunosupresyjne jak po przeszczepieniu narządów unaczynionych, takich jak serce, wątroba lub nerka. Sirolimus (SIR) i ewerolimus (EVE) mają podobny mechanizm działania, ale różnią się farmakokinetyką. Sirolimus stosuje się raz na dobę, zaś ewerolimus 2 x na dobę.

Dwa nowe badania wykazały skuteczność SIR i TAC w złożonych schematach immunosupresyjnych, stosowanych w celu zapobiegania chorobie przeszczep przeciw gospodarzowi (graft versus host disease - GVHD) po transplantacji komórek macierzystych układu krwiotwórczego. W badaniu retrospektywnym Khimani 2017, stosowanie schematu SIR/TAC w ramach profilaktyki GVHD powodowało zmniejszenie występowania stopnia zaawansowania postaci choroby (II-IV) z porównywalnym schematem metotreksat/TAC. Stosowanie schematu SIR/TAC wpływało również na poprawę ogólnej przeżywalności. Autorzy niewielkiego prospektywnego badania Törlén i wsp. 2016 stwierdzili, że kombinacja TAC/SIR pozostaje ważną i bezpieczną alternatywą dla cyklosporyny/metotreksatu w ramach profilaktyki GVHD.

Praktyka polskich transplantologów wskazuje na konieczność posiadania różnych schematów immunosupresyjnych u pacjentów po przeszczepieniu kończyny.



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 „Azathioprinum, everolimusum, acidum mycophenolicum, sirolimusum, tacrolimusum we wskazaniu: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek”, aneks do raportu nr: OT.4321.16.2019, data ukończenia: 9 kwietnia 2019 r.