



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 115/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku w sprawie substancji czynnej ciclosporinum we wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną dalszą refundację leków zawierających substancji czynnej ciclosporinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – - leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.

Uzasadnienie

Cyklosporyna jest stosowanym od wielu lat lekiem immunosupresyjnym. Dowody naukowe oraz wytyczne praktyki klinicznej, które pojawiły się w okresie od ostatniej opinii Rady Przejrzystości potwierdzają użyteczność kliniczną ocenianej technologii w powyższych wskazaniach.

Analiza kliniczna posiada liczne ograniczenia ze względu na liczne badania niskiej jakości, małą liczbę pacjentów biorących udział w badaniach, odmienną populację w stosunku do populacji wnioskowanej, różne dawki cyklosporyny oraz stosowanie jej w skojarzeniu z innymi lekami.

Dostępne dowody naukowe wskazują jednak na możliwą skuteczność cyklosporyny stosowanej w terapii skojarzonej w aplazji lub hipoplazji szpiku kostnego (Sasaki 2019, Shah 2018, Atta 2017, Cui 2017, Nishikawa 2016, Vaht 2017, Wan 2016), w białaczce z dużych granularnych limfocytów T (Sanikommu 2017), zespole aktywacji makrofagów (García-Pavón 2016), wybiórczej aplazji układu czerwonokrwinkowego (Balasubramanian 2018, Wu 2018), małopłytkowości odpornej na leczenie (Liu 2016, Cataland 2017), w zespole mielodysplastycznym (Haider 2016) oraz w stanach po przeszczepie (Finke 2017, Mutalik 2017, Torlen 2016, Ruutu 2018, Rodríguez-Perálvarez 2017). Natomiast publikacje dotyczące zespołu hemofagocytowego nie wskazują na korzyści z zastosowania cyklosporyny w zakresie skuteczności lub OS (Wang 2016, Bergsten 2017).



Odnaleziono 11 wytycznych klinicznych zalecających stosowanie cyklosporyny w leczeniu pacjentów z: aplazją lub hipoplazją szpiku kostnego (BSH 2017), białaczką z dużych granularnych limfocytów T (NCCN 2019, NCI 2019), wybiórczą aplazją układu czerwonokrwinkowego (NCCN 2019b, BSH 2018), małopłytkowością odporną na leczenie (JWG 2018, RCHT 2017), zespołami mielodysplastycznymi nie ograniczonymi jednak do leczenia paliatywnego (CCO 2018, NCCN 2019 MDS, NCI 2019) oraz po przeszczepieniu kończyny, rogówki, tkanek lub komórek (PTT 2016). Nie odnaleziono rekomendacji praktyki klinicznej dla: zespołu aktywacji makrofagów (MAS), ale odnaleziono dwie publikacje, w których przedstawiono opcje terapeutyczne stosowne w leczeniu MAS - Halyabar 2019 i Zalewska 2018.

Uwzględniając dostępne dowody naukowe oraz wieloletnie doświadczenie i ugruntowaną pozycję w lecznictwie, cyklosporyna powinna być dostępna, jako jedna z alternatyw terapeutycznych, we wskazaniach pozarejestacyjnych wymienionych we wniosku.

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 „Cyklosporyna w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych”, Aneks do raportu nr: BOR.434.11.2016, data ukończenia: 10 kwietnia 2019 r.