



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 73/2020 z dnia 6 kwietnia 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną colistinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. pierwotna dyskineza rzęsek

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną colistinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: pierwotna dyskineza rzęsek.*

#### Uzasadnienie

*Pierwotna dyskineza rzęsek (PCD – primary ciliary dyskinesia) to rzadkie, genetycznie heterogenne, pierwotne zaburzenie układu oddechowego charakteryzujące się przewlekłą chorobą górnych i dolnych dróg oddechowych. PCD dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny.*

*Szacowana częstość występowania PCD wynosi 1/15000 – 1/30000 żywych urodzeń, ale jest prawdopodobnie niedoszacowana. Zachorowalność jest trudna do ustalenia, niemniej jest to choroba rzadko rozpoznawana.*

*Colistinum (lek Colistin TZF) jest refundowany w ramach wskazań rejestacyjnych u chorych z mukowiscydozą, a zgodnie z poprzednimi opiniami Rady Przejrzystości z poprzednich lat (ostatnia z 2017) również w PCD jako wskazaniu pozarejestacyjnym.*

*Od czasu ostatniej opinii Rady w 2017 roku, pomimo aktualizacji wyszukiwania wytycznych dla wskazania „pierwotna dyskineza rzęsek” nie odnaleziono opublikowanych rekomendacji odnoszących się do postępowania terapeutycznego w jej przebiegu. Odnaleziono wytyczne praktyki klinicznej ERS 2017b oraz ATS 2018 dotyczące wyłącznie diagnostyki pierwotnej dyskinezy rzęsek.*

*Odnaleziono natomiast 1 pierwotne badanie ankietowe (Crowley 2018), opisujące sposób postępowania z zakażeniami dróg oddechowych spowodowanych *Pseudomonas aeruginosa* (PA) u pacjentów z pierwotną dyskinezą rzęsek (PCD), w 36 krajach Europy. W ankiecie tej najczęściej przepisywanym schematem leczenia jest ciprofloksacyna doustna w skojarzeniu z wziewną kolistyną (41,9% ośrodków, n=18).*



*Podsumowując, brak jest nowych dowodów naukowych uzasadniających zmianę wcześniej wydawanych, pozytywnych opinii Rady Przejrzystości.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4321.65.2019 „Kolistyna, dornaza alfa we wskazaniu: pierwotna dyskineza rzęsek”, data ukończenia: 1.04.2020 wraz z Aneksem do opracowania nr: BOR.434.7.2017.