



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezisie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 33/2022 z dnia 7 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną acidum mycophenolicum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną acidum mycophenolicum we wskazaniu pozarejestacyjnym: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.

Uzasadnienie

W dniu 15 kwietnia 2019 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 110/2019), dotyczącą kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną kwas mykofenolowy w ocenianym wskazaniu. Niniejsza opinia zawiera aktualizację danych zawartych w poprzednim opracowaniu w zakresie nowych wytycznych oraz dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa analizowanej technologii medycznej.

Po transplantacji kończyny, rogówki, tkanek lub komórek stosuje się podobne leki immunosupresyjne jak po przeszczepieniu narządów unaczynionych. Podstawowym składnikiem schematów leczenia immunosupresyjnego są inhibitory kalcyneuryny – cyklosporyna A oraz takrolimus. Kwas mykofenolowy (MPA) jest czynną cząsteczką dwóch leków (MMF i jego soli sodowej). Badania wskazują na taką samą skuteczność MMF i mykofenolanu sodu u chorych po przeszczepieniu nerki. Coraz częściej stosowane pochodne kwasu mykofenolowego zastępują azatioprynę.

Zgodnie z przedstawionymi wynikami metaanaliz oraz badań pierwotnych, kwas mykofenolowy, takrolimus oraz sirolimus wykazują skuteczność w zakresie stosowania we wskazaniu stan po przeszczepie rogówki lub komórek. Większość publikacji odnosi się do stosowania ww. substancji jako profilaktyki GVHD (choroba przeszczep przeciw gospodarzowi). W metaanalizie Yu 2021 stosowanie miejscowe takrolimusu, mykofenolanu mofetylu i cyklosporyny A uznano



za obiecujące postępowanie zapobiegające odrzuceniu przeszczepu w przypadku keratoplastyki penetrującej wysokiego ryzyka.

W jednośrodkowym, randomizowanym prospektywnym badaniu Ramzi 2021 stwierdzono, że połączenie MMF, cyklosporyny i metotreksatu jest lepsze od standardowego schematu cyklosporyny i metotreksatu w profilaktyce GVHD po allogenicznym przeszczepie komórek macierzystych zgodnych z antygenami zgodności tkankowej (HLA) z powodu ostrej białaczki.

W najnowszych wytycznych polskich transplantologów (PTT 2021) pochodne kwasu mykofenolowego (podobnie jak takrolimus, ewerolimus i sirolimus) zostały uznane za podstawowe leki immunosupresyjne. Zalecany podstawowy protokół leczenia podtrzymującego po przeszczepieniu kończyny górnej obejmuje m.in. stosowanie mykofenolanu mofetylu. Europejskie wytyczne dotyczące profilaktyki i leczenia GVHD po przeszczepieniu komórek macierzystych w celu leczenia złośliwych nowotworów hematologicznych wśród substancji stosowanych w profilaktyce GVHD wskazują takrolimus i mykofenolan mofetylu. Rekomendacje amerykańskie dotyczące zapobiegania i postępowania w przypadku wystąpienia GVHD po przeszczepieniu krwi pępowinowej wskazują, że w USA i w Europie najczęściej stosowanym schematem profilaktycznym zapobiegającym GVHD jest inhibitor kalcyneuryny, np. cyklosporyna-A lub takrolimus, w skojarzeniu z mykofenolanem mofetylu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523), 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 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4220.10.2022 Aneks do opracowania nr: OT.4321.16.2019 „Kwas mykofenolowy, azatiopryna, ewerolimus, takrolimus, sirolimus we wskazaniu: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek”. Data ukończenia: 3 marzec 2022 r.