



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 44/2022 z dnia 14 marca 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną danazol w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną danazol we wskazaniach pozarejestacyjnych: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny.*

#### Uzasadnienie

*Danazol jest lekiem zarejestrowanym w leczeniu endometriozy i dysplazji włóknisto-torbielowatej. W Polsce danazol oprócz wyżej wymienionych wskazań jest także finansowany we wskazaniach pozarejestacyjnych tj małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespole mielodysplastycznym.*

*Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności kontynuowania finansowania we wskazaniach pozarejestacyjnych. Poprzednia opinia Rady przejrzystości dotycząca danazolu została wydana w roku 2019.*

*Dowody naukowe, które uzasadniają stosowanie danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespole mielodysplastycznym są ograniczone. W wytycznych klinicznych dotyczących leczenia małopłytkowości autoimmunizacyjnej, ASH 2019 wymienia się danazol jako opcję terapeutyczną. Z kolei w wytycznych ESMO 2020 wskazuje się na androgeny jako opcję w leczeniu małopłytkowości w przebiegu zespołu mielodysplastycznego. W poprzedniej opinii Rady wytyczne opracowane przez grupę roboczą z Niemiec, Austrii i Szwajcarii wskazywały na możliwość stosowania danazolu w III linii leczenia. Nie zidentyfikowano publikacji dokumentujących efektywność leku u pacjentów z małopłytkością autoimmunizacyjną oporną na leczenie izespołem mielodysplastycznym, które ukazały się od czasu wydania poprzedniej opinii.*

*Podsumowując, nie odnaleziono danych klinicznych, które uzasadniałyby zmianę pozytywnej opinii Rady Przejrzystości nr 108 z roku 2019, dotyczącej stosowania*



*danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie oraz zespołu mielodysplastycznego.*

**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 finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4220.14.2022 „danazol we wskazaniach: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny”, data ukończenia: 10 marca 2022 r.