



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 179/2022 z dnia 19 grudnia 2022 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
anakinra w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną anakinra w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: inne wrodzone zespoły autozapalne: TRAPS; poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1-Zespół Schnitzlera; amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.*

**Uzasadnienie**

*Od opracowania znak OT.4321.57.2019, z dnia 15.01.2020 r. pojawiły się następujące nowe dowody naukowe wskazujące na skuteczność produktów leczniczych zawierających anakinrę w wskazaniach innych niż określone w charakterystyce produktu leczniczego tj. :*

**1.) TRAPS**

*Dla populacji TRAPS, w odnalezionych 2 przeglądach systematycznych, w opisach skuteczności i bezpieczeństwa stosowania anakinry uwzględniono dane z kilku nielicznych serii przypadków. W badaniach wskazano, iż pacjenci byli skutecznie leczeni anakinrą, uzyskując poprawę w zakresie: statusu funkcjonalnego, kontroli choroby i zapobieganiu jej nawrotom. Wyniki te znajdują również potwierdzenie w odnalezionych badaniach obserwacyjnych, w których również wskazano na wysoką skuteczność anakinry w leczeniu TRAPS.*

**2.) Zespół Schnitzlera**

*Dla populacji z zespół Schnitzlera, w 2 odnalezionych badaniach (przeгляд systematyczny i badanie real-word) wskazano, iż pacjenci byli skutecznie leczeni anakinrą. Zastosowana terapia prowadziła do poprawy ich stanu zdrowia, również w przypadku chorych wcześniej nieskutecznie leczonych lekami przeciwreumatycznymi (csDMARDs, DMARDs).*

**3.) Wtóra amyloidoza (AA)**

*Dla populacji z wtórną amyloidozą, w 2 odnalezionych przeglądach systematycznych wskazano na skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania anakinry w leczeniu tej grupy chorych. Stosowanie anakinry prowadziło do stabilizacji, regresji i normalizacji poziomu białka w moczu. Wyniki te znajdują*

*również potwierdzenie w odnalezionych badaniach obserwacyjnych, w których również wskazano na wysoką skuteczność anakinry w leczeniu wtórnej amyloidozy.*

*Ponadto dla wskazania TRAPS odnaleziono wytyczne, w których co prawda nie odniesiono się bezpośrednio do stosowania leku z anakinrą jednak przedstawiono zalecenia dla stosowania inhibitorów IL-1, do których należy analizowana substancja. I tak wytyczna Hansmann 2020 wskazuje, iż terapia za pomocą inhibitorów IL-1 lub, powoduje znaczącą poprawę objawów i parametrów laboratoryjnych. Dodatkowo w wytycznej ELUAR/ACR 2021 wskazano, iż terapia inhibitorami IL-1 jest preferowanym sposobem leczenia oraz że inhibitory IL-1 są skuteczniejsze od przeciwrumatycznych leków modyfikujących przebieg choroby (DMARDS) w osiągnięciu remisji choroby oraz zapobieganiu długoterminowym komplikacjom.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 463), 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 opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.4221.43.2022 „Anakinra w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: inne wrodzone zespoły autozapalne: TRAPS; poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1-Zespół Schnitzlera; amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych”, data ukończenia 14.12.2022 r.