



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 15/2022 z dnia 31 stycznia 2022 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną clofarabinum 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 clofarabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *histiocytoza z komórek Langerhansa niesklasyfikowana gdzie indziej – w trzeciej linii leczenia (ICD-10: D76.0);*
- *ostra białaczka szpikowa - u dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których zdiagnozowano pierwotnie oporną ostrą białaczkę szpikową lub jej pierwszą wznowę oporną na leczenie II linii oraz u dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których stwierdzono drugą wznowę ostrej białaczki szpikowej (ICD-10: C92.0).*

Uzasadnienie

W dniu 5 marca 2019 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 59/2019) co do kontynuacji refundacji leków substancji czynnej clofarabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: profilaktyka inwazyjnych zakażeń grzybiczych u pacjentów wysokiego ryzyka z zespołami przebiegającymi z niedoborami odporności.

Od czasu wydania poprzedniej opinii Rady Przejrzystości nie odnaleziono badań dotyczących dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których zdiagnozowano pierwotnie oporną ostrą białaczkę szpikową lub jej pierwszą wznowę oporną na leczenie II linii oraz dzieci i młodzieży do ukończenia 18 roku życia, u których stwierdzono drugą wznowę ostrej białaczki szpikowej. Zidentyfikowano aktualizację wytycznych NCCN (z 2021 r.) z zakresu leczenia histiocytozy z komórek Langerhansa, określającą, że klofarabina może być zastosowana jako jedna z terapii w leczeniu postaci wieloukładowej lub w przypadku postaci płucnej histiocytozy z komórek Langerhansa, niezależnie od mutacji genów.



Zidentyfikowano jedno badanie niskiej jakości (Irie 2021), dotyczące skutecznego leczenia ratunkowego klofarabiną u 2 pacjentów z histiocytozą z komórek Langerhansa (LCH), z czego 1 miał podawaną klofarabinę w III linii leczenia.

Podsumowując, brak jest doniesień naukowych, wskazujących na potrzebę rewizji poprzedniej opinii Rady odnośnie do stosowania klofarabiny we wnioskowanych wskazaniach pozarejestacyjnych.

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.4221.4.2022 „Klofarabina we wskazaniach innych niż określone w ChPL”. Data ukończenia: 26 stycznia 2022 r.