

Od 1 września refundowana jest jedna z najbardziej innowacyjnych terapii dla pacjentów onkologicznych - terapia komórkowa i genowa CAR-T. Jest to jedna z najbardziej zaawansowanych procedur medycznych i najdroższych terapii na świecie dla pacjentów w wieku do 25 lat z ostrą białaczką limfoblastyczną z komórek B.

Jak wskazuje szef resortu zdrowia, refundowana terapia CAR-T wykorzystuje własny układ odpornościowy pacjenta i zaawansowaną inżynierię genetyczną, aby walczyć z nowotworem dzięki zmodyfikowanym genetycznie limfocytom T.

Produkt leczniczy Kymriah, który od września jest refundowany, został zarejestrowany jako produkt terapii zaawansowanej, w oparciu o opinię Komitetu ds. Terapii Zaawansowanych (CAT, ang. Committee for Advanced Therapies) działającego w ramach EMA.

Do refundacji leczenia kwalifikowani są pacjenci w wieku do 25 lat z nawrotową/oporną ostrą białaczką limfoblastyczną (ALL) z komórek B, u których spełniony jest co najmniej jeden z poniższych warunków:

- drugi lub kolejny nawrót w szpiku kostnym;
- nawrót (w szpiku kostnym) po przeszczepieniu allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych (allo-HSCT) i po co najmniej 4 miesiącach przerwy pomiędzy allo-HSCT a podaniem tisagenlecleucelu;
- pierwotna oporność na leczenie definiowana jako nieosiągnięcie całkowitej remisji (CR) po 2 cyklach standardowej chemioterapii lub chemiooporność definiowana jako nieosiągnięcie CR po jednym cyklu leczenia reindukującego stosowanego w nawrocie ALL;
- ALL z obecnym chromosomem Philadelphia z nietolerancją lub z niepowodzeniem co najmniej dwóch linii leczenia inhibitorami kinazy tyrozynowej (TKI) albo przeciwwskazania do terapii TKI;
- brak kwalifikacji do allo-HSCT ze względu na choroby współistniejące, przeciwwskazania do leczenia kondycjonującego przed allo-HSCT, brak odpowiedniego dawcy lub wcześniejsze allo-HSCT;
- kryteria funkcjonalne pacjenta muszą być spełnione łącznie.

Leczenie będzie mogło być prowadzone w wyspecjalizowanych ośrodkach w różnych miastach Polski.

Na wrześniowej liście nowości leków refundowanych pojawiły się także:

- lek PKU GMPPro refundowany w diecie eliminacyjnej w Fenyloketonurii dla pacjentów powyżej 12 roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych;
- Cortiment MMX, lek stosowany w indukcja remisji u pacjentów z aktywnym mikroskopowym zapaleniem jelita grubego, czyli także chorobie rzadkiej;
- Cystagon, lek przeznaczony dla chorych na wczesnodziecięcą postać cystynozy nefropatycznej (choroby ultraradkiej).

Więcej informacji [tutaj](#).

Źródło: MZ