



Stanowisko Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego dot. konieczności poszerzenia dostępu do leczenia poza zarejestrowanymi wskazaniami (*off-label*) w chorobach reumatycznych w Polsce

Zgodnie ze stanowiskami Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego z 2025 r. dostęp pacjentów do innowacyjnego leczenia ulega systematycznej poprawie. Refundacja leków biologicznych oraz syntetycznych celowanych w ramach programów lekowych opiera się w głównej mierze o zarejestrowane wskazania, ale w przypadku części leków i wskazań obejmują także wskazania nieokreślone w ChPL czyli *off-label*. Są one zgodne z aktualną wiedzą medyczną i rekomendacjami.

Oprócz dostępu do innowacyjnego leczenia, poprawie powinna ulec także dostępność do leków klasycznych. Aktualnie w Polsce dostępne są następujące leki:

- **metotreksat (p.o., s.c.),**
- **azatiopryna,**
- **chlorochina,**
- **cyklofosfamid,**
- **cyklosporyna,**
- **mycofenolan mofetilu,**
- **leflunomid,**
- **sulfasalazyna.**

Zgodnie z ustawą refundacyjną wszystkie leki są refundowane w zakresie wskazań wymienionych w aktualnej charakterystyce produktu leczniczego (ChPL). W odniesieniu do chorób reumatycznych o etiologii zapalnej i autoimmunizacyjnej w przypadku większości leków wskazania rejestracyjne nie obejmują wszystkich wskazań, w których leki te są stosowane w praktyce. Dla części leków, wskazania refundacyjne są poszerzane zgodnie z aktualną wiedzą medyczną i rekomendacjami.

Aktualnie w Polsce nie wszystkie leki klasyczne są refundowane w pełnym zakresie wskazań określonym w ChPL (leflunomid) oraz nie wszystkie we wskazaniach *off-label* wynikających z aktualnej praktyki klinicznej, wiedzy i rekomendacji. Są także takie leki podstawowe, które nie były w Polsce dotychczas refundowane (hydroksychlorochina).

Spośród wymienionych leków klasycznych pacjenci mają zapewniony szeroki dostęp, obejmujący „wszystkie zarejestrowane wskazania” oraz „choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL” w przypadku wszystkich ww. leków oprócz: leflunomidu (refundacja obejmuje tylko RZS i w ograniczonym stopniu MIZS), mycofenolanu mofetilu (refundacja obejmuje zapalenie naczyń, toczeń rumieniowaty układowy, nefropatię toczniową i twardzinę układową) oraz metotreksatu w postaci doustnej (refundacja obejmuje tylko zarejestrowane wskazania, refundacja w innych chorobach autoimmunizacyjnych dotyczy tylko metotreksatu w postaci podskórnej).

Zapis „choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL” jest różnie interpretowany, nie wyczerpuje bowiem wszystkich wskazań klinicznych, szczególnie zapaleń stawów o etiologii innej niż autoimmunizacja. Ma to szczególne znaczenie w przypadku sulfasalazyny oraz leków antymalarycznych, które stosowane są często w praktyce np. w przypadkach reaktywnego zapalenia stawów lub niezróznicowanego zapalenia stawów.

Poprawa dostępu do leków klasycznych w aptekach ogólnodostępnych powinna obejmować przede wszystkim następujące substancje czynne w następującym zakresie (proponycja poszerzenia dot. leków lub kryteriów refundacyjnych w stosunku do aktualnej dostępności):

- **hydroksychlorochina** – we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach oraz choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL oraz zapalenia stawów o innej etiologii,
- **chlorochina** – zapalenia stawów o innej etiologii,
- **metotreksat – postać doustna** – choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL,
- **leflunomid** – we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach oraz choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL,
- **sulfasalazyna** – zapalenia stawów o innej etiologii,
- **mycofenolan mofetilu** – choroba śródmiąższowa płuc w przebiegu układowych chorób tkanki łącznej.

Spśród leków biologicznych należy także rozważyć **refundację rytuksymabu** oraz **tocilizumabu *off-label*** w ramach programów lekowych we wskazaniach:

Rytuksymab

- toczень rumieniowaty układowy (TRU, SLE) (B.150)
- choroba śródmiąższowa płuc w przebiegu twardziny układowej (SSc-ILD) oraz w przebiegu innych układowych chorób tkanki łącznej (PF-ILD w UChTŁ) (B.135)

Tocilizumab

- choroba śródmiąższowa płuc w przebiegu twardziny układowej (SSc-ILD) oraz w przebiegu części innych układowych chorób tkanki łącznej (m.in. mieszana choroba tkanki łącznej, MCTD-ILD)

W przypadku obu ww. leków biologicznych refundacją objęte są już leki biopodobne, co powinno skutkować poszerzeniem wskazań do ich stosowania w Polsce.

W dniu 9.04.2025 r. podczas debaty think tanku „Medyczna Racja Stanu” dot. reumatologii, w której udział brali eksperci PTR oraz przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Funduszu Zdrowia oraz AOTMiT, zaadresowano różne potrzeby pacjentów reumatologicznych, w tym dot. refundacji leków *off-label*. Polskie Towarzystwo Reumatologiczne we współpracy z konsultantem krajowym w dziedzinie reumatologii będzie nadal podejmowało aktywne działania skutkujące poprawą dostępności do leczenia w chorobach reumatycznych w Polsce.

dr hab. n. med. Marcin Stajszczyk

przewodniczący Komisji ds. Polityki Lekowej Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego

dr hab. n. med. Zbigniew Żuber, prof. UAFM

Prezes Polskiego Towarzystwa Reumatologicznego