



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości nr 182/2019 z dnia 17 czerwca 2019 roku w sprawie substancji czynnej tacrolimus we wskazaniach pozarejestacyjnych: miastenia

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną prednisonum we wskazaniach pozarejestacyjnych: miastenia.

Uzasadnienie

W badaniu Bao (2018) autorzy wykazali istotną statystycznie przewagę takrolimusu nad grupą kontrolną w zakresie: redukcji zaawansowania miastenii w klasyfikacji Ossermana, poprawy wyniku w skali MGFA-QMG, poprawy wyniku w skali ADL i poprawy wyniku w skali MMT, poprawy indeksu oceniającego nużliwość kończyn, w porównaniu do początku badania, indeksu oceniającego nużliwość mięśnia opuszkowego (test oddechowy) od 8 tygodnia oraz możliwości redukcji dawki prednizonu. W badaniu Zhao 2018, autorzy wykazali istotną statystycznie przewagę takrolimusu nad grupą kontrolną w zakresie: poprawy wyniku w skali MG-ADL oraz liczby hospitalizacji.

Analiza bezpieczeństwa takrolimusu w przeglądzie Wang 2017 wykazała, że w większości przypadków zdarzenia niepożądane miały łagodny przebieg i nie było potrzeby przerywania leczenia. W badaniu Zhao 2018 wykazano, że wszystkie działania niepożądane ustąpiły w wyniku ich leczenia lub redukcji dawki takrolimusu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.).

Wykorzystane źródła danych:

1. Opracowanie na potrzeby Rady Przejrzystości w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych leków we wskazaniach innych niż ujęte w Charakterystyce Produktu Leczniczego, aneks do raportu nr: OT.4321.25.2019, „Prednizon we wskazaniach: miastenia; zespół miasteniczny; miopatia zapalna; neuropatia zapalna (z wyjątkiem zespołu Guillaina-Barrego) Takrolimus we wskazaniach: miastenia”, data ukończenia: 14 czerwca 2018 r.

