



Opinia Rady Przejrzystości
nr 69/2023 z dnia 17 kwietnia 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
prednisonum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną prednisonum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia.

Uzasadnienie

Miopatie wrodzone to choroby mięśni uwarunkowane genetycznie, w których na podstawie badania histopatologicznego wycinka mięśniowego zidentyfikowano swoiste zmiany strukturalne włókien mięśniowych. Nieprawidłowości strukturalne włókien mięśniowych ujawniają się klinicznie osłabieniem mięśni i napięciem mięśniowego. Jest to grupa heterogennych chorób o zróżnicowanym pochodzeniu, w tym choroby wrodzone (między innymi dystrofie, miopatie mitochondrialne, miopatie towarzyszące chorobom spichrzeniowym) jak również miopatie nabyte, w tym toksyczne i polekowe.

Grupa miopatii wrodzonych (G71.2) (miopatia nemalinowa, „multicore”, centronuklearna) jest grupą chorób dla których nie ma specyficznego leczenia farmakologicznego. Postępowanie obejmuje terapię wspomagającą planowaną przez zespół wielodyscyplinarny obejmującą także zastosowanie glikokortykosteroidów, jednakże brak jest dowodów na efektywność takiego postępowania w tym wskazaniu (Nagai 2015).

Od ostatniej Opinii Rady Przejrzystości nr 137/2020 z dnia 8 czerwca 2020 r. nie pojawiły się nowe rekomendacje a wcześniej wyszukane rekomendacje odnoszące się do miopatii wrodzonych ICSCCMD 2010, ICSCCM 2012, dotyczyły głównie interwencji nefarmakologicznych i nie zawierały informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów.

Poza grupą miopatii wrodzonych, do grupy pierwotnych zaburzeń mięśniowych (G71) zalicza się inne choroby wrodzone z zaburzeniami mięśniowymi w tym dystrofie mięśniowe czy miopatie mitochondrialne.

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi prednizon jest rekomendowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a/Beckera (SEN 2019, DMDCCWG 2018, NDDBAN 2017, AAN 2016) i młodzieńczym zapaleniu skórno-mięśniowym (Żuber 2019).

W przypadku dystrofii twarzowo-łopatkowo-ramiennej (AAN 2015) uznano, że dane są niewystarczające, aby potwierdzić pozytywny wpływ prednizonu na siłę mięśni. W rekomendacjach wskazuje się na lepszą kontrolę objawów choroby oraz poprawę siły mięśni szkieletowych (dystrofia mięśniowa Duchenne'a).

Nie odnaleziono nowych wytycznych odnoszących się do miopatii wrodzonych, odnaleziono natomiast trzy publikacje: Dowling 2018 – przegląd dotyczący leczenia zaburzeń nerwowo-mięśniowych u dzieci oraz prace poglądowe: Claeys 2019 i Gineste 2023 dotyczące miopatii wrodzonych. We wszystkich ww. publikacjach wskazano, że nie ma obecnie terapii zatwierdzonych oraz jednoznacznie zalecanych w leczeniu miopatii wrodzonych. W publikacji Gineste 2023 wskazano, że przeprowadzono wiele badań przedklinicznych oraz kilka badań klinicznych dla różnych terapii mogących mieć zastosowanie w leczeniu miopatii wrodzonych, jednak do tej pory wyniki zakończonych badań nie są rozstrzygające. W publikacjach Dowling 2018 oraz Claeys 2019 przedstawiono informację, iż zaleca się multidyscyplinarne podejście w leczeniu miopatii wrodzonych – pacjent powinien być pod opieką zespołu specjalizującego się w chorobach nerwowo-mięśniowych, w którego skład wchodzi neurolog dziecięcy, pulmonolog, chirurg ortopeda, kardiolog, fizjoterapeuta, terapeuta zajęciowy, logopeda, dietetyk i neuropsycholog. Nie odnaleziono badań odnoszących się do stosowania prednizonu we wskazaniu miopatia wrodzona u dzieci do 18. roku życia. Zdaniem eksperta, który wypowiedział się w ramach oceny w roku 2020, w części chorób zaliczanych do miopatii, w szczególności w dystrofiach mięśniowych stosowanie glikokortykosteroidów znajduje uzasadnienie.

Podsumowując refundacja powinna być kontynuowana a brak dowodów potwierdzających jednoznacznie skuteczność i bezpieczeństwo może wynikać z rzadkiego i niejednorodnego charakteru ocenianej jednostki chorobowej – oszacowany wskaźnik chorobowości w populacji dzieci wynosi 2,76 (95% CI: 1,34; 4,18) na 100 000 (Huang 2021).

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. 2555 z późn. zm.), 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 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.13.2023 (Aneks do opracowania nr: OT.4320.12.2020) „Prednisonum we wskazaniu: miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia”; data ukończenia 13 kwietnia 2023 r.