



Opinia Rady Przejrzystości
nr 100/2023 z dnia 15 maja 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
desmopressinum w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności kontynuacji finansowania ze środków publicznych leków zawierających desmopresynę w ww. wskazaniu pozarejestacyjnym. W odniesieniu do powyższego wskazania Rada Przejrzystości dwukrotnie pozytywnie opiniowała wymienioną substancję czynną (ORP nr 200/2017 z dn. 17 lipca 2017 r. oraz ORP nr 146/2020 z dn. 15 czerwca 2020 r.). Niniejsza opinia aktualizuje dane zawarte w poprzednim stanowisku Rady.

Moczenie nocne definiowane jest jako stałe (co najmniej 3 razy w tygodniu) lub okresowe, mimowolne i bezwiedne oddawanie moczu w czasie snu przez dziecko będące w wieku, w którym samodzielna kontrola nad tym procesem powinna już być wykształcona (ok. 5 r.ż.). W przypadku niepowodzenia terapii behawioralnej zaleca się rozpoczęcie farmakoterapii (desmopresyną) lub zastosowanie alarmu wybudzeniowego (technologia nie jest refundowana w Polsce).

W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego nie odnaleziono nowych, opublikowanych po 28. maja 2020 roku, badań spełniających kryteria włączenia do analizy. Do opracowania włączono jednak jedno prospektywne kohortowe badanie Radojicic 2020, odnoszące się do skuteczności desmopresyny u dzieci w wieku 5-6 lat. Badanie to dotyczyło populacji, która nie odpowiadała na leczenie zachowawcze przez co najmniej 3 miesiące, zaś obecnie oceniane wskazanie dotyczy dzieci z udokumentowanym 1-miesięcznym nieskutecznym postępowaniem wspomagającym i motywującym, zatem nie odpowiada w pełni populacji ocenianej. Wyniki badania wskazują na istotny efekt terapeutyczny

desmopresyny w zakresie zmniejszenia częstości moczenia nocnego zarówno w populacji dzieci w wieku przedszkolnym tj. 5-6 lat (N=43) jak i w wieku szkolnym 7-12 lat (N=46). Wykazano istotnie wyższą redukcję enurezy w grupie dzieci starszych względem młodszych.

Odnalezione najnowsze rekomendacje kliniczne, europejskie (EAU 2023) oraz światowe (ICCS 2020), wskazują na zasadność stosowania desmopresyny u dzieci powyżej piątego roku życia z potwierdzonym monosymptomatycznym moczeniem nocnym.

Podsumowując, od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania.

Uwzględniając powyższe dane Rada uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną desmopressinum we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r., poz. 826), 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 opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.15.2023 „Desmopresyna we wskazaniu: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego”; data ukończenia 28 kwietnia 2023 r. oraz aneksu nr: OT.4321.70.2019.