



Opinia Rady Przejrzystości

nr 27/2024 z dnia 26 lutego 2024 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetylu we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mykofenolan mofetylu we wskazaniu pozarejestacyjnym: miastenia.

Uzasadnienie

Miastenia, jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowomięśniowego – receptorowi acetylocholino (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni.

W pierwszej linii leczenia stosuje się inhibitory ChE (pirydostygmina, neostygmina, ambenonium, distygmina), które zwalniają rozkład acetylocholino. Jeżeli leczenie inhibitorem ChE nie przynosi poprawy stosuje się leczenie immunosupresyjne najczęściej prednizon i azatioprynę, a w razie ich nieskuteczności cyklofosfamid, cyklosporynę, metotreksat lub mykofenolan mofetylu.

Dowody naukowe opierają się na 3 badaniach z randomizacją oraz jednym badaniu retrospektywnym. Badania te wykazały umiarkowaną, często nieznamienną statycznie skuteczność terapii.

Według opinii eksperta przypuszczalna liczba chorych u których lek byłby stosowany po objęciu go refundacją wynosi od 900 do 1200.

Oszacowany w horyzoncie analizy wzrost wydatków NFZ wynosi ok. 390 000 PLN.

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. 2555 z 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.1.5.2024 „Mykofenolan mofetylu we wskazaniu innym niż określone w ChPL: miastenia”; data ukończenia: 21 lutego 2024 r.