



Opinia Rady Przejrzystości
nr 206/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
stiripentolum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną stiripentolum we wskazaniu pozarejestacyjnym: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt (EIMFS) została wyodrębniona jako jednostka nozologiczna w roku 1995. Należy do grupy wczesnoniemowlęcych encefalopatii padaczkowych o wysoce heterogennych uwarunkowaniach.

Rada Przejrzystości wydała pozytywne opinie: nr 7/2023 z dnia 23 stycznia 2023 roku, nr 43/2020 z dnia 24 lutego 2020 roku i nr 82/2017 z dnia 27 marca 2017 roku, dotyczące refundacji styrypentolu w powyższym wskazaniu.

Nie odnaleziono nowych wytycznych odnoszących się do postępowania w złośliwej ogniskowej migrującej padaczce u niemowląt. Brak wysokiej jakości dowodów wynika z faktu, iż EIMFS jest chorobą ultraradką, wskaźnik zapadalności określono na 0,11/100 000 dzieci (Jara 2021). Dotychczas w literaturze opisano nieco ponad 100 przypadków.

Główne argumenty decyzji

- *W stosunku do poprzednich pozytywnych opinii nie odnaleziono nowych badań naukowych i wytycznych klinicznych wskazujących na konieczność zmiany przez Radę Przejrzystości dotychczasowego wnioskowania;*
- *złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt jest chorobą ultraradką, a styrypentol stanowi jedną z opcji terapeutycznych.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), 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).