



## Opinia Rady Przejrzystości

nr 36/2026 z dnia 16 marca 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną prednisonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia

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

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*W poprzedniej opinii (nr 69/2023 z dnia 17 kwietnia 2023 roku) Rada wskazała, że rekomendacje odnoszące się do miopatii wrodzonych (ICSCCMD 2010, ICSCCM 2012) dotyczyły głównie interwencji nefarmakologicznych i nie zawierały informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów. Odnaleziono 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.*

*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. W poprzedniej opinii Rada wskazała, że wytyczne kliniczne rekomendują prednizon w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera (SEN 2019, DMDCCWG 2018, NDDBAN 2017, AAN 2016) i młodzieńczym zapaleniu skórno-mięśniowym (Żuber 2019).*

*Rada wydała opinię, że refundacja powinna być kontynuowana, a brak dowodów potwierdzających jednoznacznie skuteczność i bezpieczeństwo może wynikać z rzadkiego i niejednorodnego charakteru ocenianej jednostki chorobowej.*

### Dowody naukowe

*Odnalezione najnowsze wytyczne kliniczne AHA 2023, Harmelink 2024 i Pasrija 2023 nie zawierają informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów. Wytyczne kliniczne ESC 2023 rekomendują prednizon w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a. Z kolei w przeglądzie Spillane 2025 wskazano prednizon jako jeden z leków mogących redukować miotonię.*

*Odnalezione publikacje naukowe, w tym opisy przypadków, wskazują na skuteczność prednizonu w terapii miopatii.*

*Nie odnaleziono wytycznych klinicznych i opublikowanych danych klinicznych, które wymagałyby zmiany poprzedniego wniosku Rady.*

### Główne argumenty decyzji

- *Brak nowych danych, które uzasadniałyby zmianę poprzedniej decyzji Rady;*
- *Bardzo niski koszt terapii.*

### **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 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 2025 r. poz. 1461).