



Opinia Rady Przejrzystości
nr 125/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
toksyna botulinowa typu A (produkt leczniczy Xeomin) w zakresie
wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego
tj. dystonia krtaniowa oraz dystonia twarzy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną toksyna botulinową typu A (produkt leczniczy Xeomin), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w ramach programu lekowego B.28. „Leczenie dystonii ogniskowych i połówiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Xeomin (toksyna botulinowa typu A) we wskazaniach pozarejestacyjnych „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w programie lekowym B.28 Leczenie dystonii ogniskowych i połówiczego kurczu.

Dystonia krtaniowa (ang. laryngeal dystonia, LD) lub dysfonia spastyczna (ang. spasmodic dysphonia) to schorzenie neurologiczne wpływające na głos i mowę. Zaburzenie dotyczy aferentnej i eferentnej kontroli mięśni krtani podczas fonacji. Dystonię ustno-żuchwową lub oromandibularną (OMD) (ang. oromandibular dystonia), obok kurczu powiek i dystonii krtaniowo-gardłowej, zalicza się do grupy dystonii twarzowych. Jest to rzadkie zaburzenie neurologiczne objawiające się mimowolnymi, nadmiernymi skurczami mięśni w obrębie ust, żuchwy, języka i/lub dolnej części twarzy; może mieć istotny wpływ na mowę, funkcje żucia i połykania, a czasem również na wyraz twarzy.

Wszystkie trzy dostępne w Polsce preparaty toksyny botulinowej typu A, tzn. Botox (onabotulinumtoxinA), Dysport (abobotulinumtoxinA) oraz Xeomin (incobotulinumtoxinA), mają ten sam mechanizm działania – działają poprzez blokowanie uwalniania acetylocholino. Preparaty te różnią się budową, zawartością białek, immunogennością oraz sposobem oznaczania aktywności.

Preparat Xeomin zawiera wyłącznie oczyszczoną neurotoksynę bez białek kompleksujących, co może wiązać się z mniejszym ryzykiem powstawania przeciwciał neutralizujących.

Produkt leczniczy Xeomin (Botulinum A toxin a 100 j.) jest już refundowany w programie lekowym B.28 we wskazaniach: kręcz karku, kurcz powiek, połowiczy kurcz twarzy, dystonie zadaniowe (np. kurcz pisarski, kurcze zawodowe). Pozostałe preparaty zawierające toksynę botulinową typu A refundowane w programie B.28, tj. Dysport (abobotulinumtoxinA) i Botox (onabotulinumtoxinA) oprócz wyżej wymienionych wskazań, refundowane są również we wskazaniach dystonia krtaniowa i dystonia twarzy.

Dowody naukowe

Biorąc pod uwagę wskazania, w których produkt leczniczy Xeomin jest już refundowany, w oparciu o wytyczne kliniczne przyjęto, że zlecenie w zakresie „dystonii twarzy” dotyczy dystonii ustno-żuchwowych.

Do analizy włączono cztery badania dotyczące stosowania toksyny botulinowej typu A w ocenianych wskazaniach. Tylko badanie Kohli 2022 bezpośrednio oceniało skuteczność i bezpieczeństwo incobotulinumtoxinA (Xeomin) u pacjentów z dystonią krtaniową przywodzicieli. Pozostałe badania obejmowały pacjentów leczonych toksyną botulinową typu A z powodu dystonii krtaniowej lub ustno-żuchwowej, jednak nie przedstawiono w nich odrębnych wyników dla incobotulinumtoxinA.

Prospektywne badanie Kohli 2022 obejmowało 16 pacjentów z dystonią krtaniową przywodzicieli. Do analizy końcowej włączono 9 chorych. W całej analizowanej populacji po leczeniu odnotowano zmniejszenie średniego wyniku Voice Handicap Index-10 (VHI-10) z 23,1 do 16,3 pkt oraz wzrost odsetka prawidłowej funkcji głosowej (PNF) z 66,1% do 89,4%, przy czym istotność statystyczną wykazano jedynie dla poprawy PNF ($p=0,04$). W podgrupie pacjentów z wtórnym brakiem odpowiedzi na wcześniejsze leczenie onabotulinotxinA średni PNF wzrósł z 37,5% do 90% ($p=0,0005$).

W badaniu Schneider-Stickler 2026 analizą objęto 39/41 pacjentów z dystonią krtaniową. Po miesiącu od podania toksyny botulinowej typu A (Xeomin otrzymało 25,6% pacjentów) stwierdzono istotne zmniejszenie liczby skurczów głosowych z 50,7 do 9,9 ($p<0,001$), nasilenia napięcia głosu z 7 do 2 pkt ($p<0,001$) oraz wysiłku fonacyjnego z 7,5 do 4,1 pkt ($p<0,001$). Wynik VHI-9i obniżył się z 23,5 do 14,7 pkt ($p<0,001$), a wynik kwestionariusza oceny uczestnictwa komunikacyjnego (CPIB) wzrósł z 12,3 do 21,0 pkt ($p<0,001$), wskazując na poprawę niepełnosprawności głosowej i uczestnictwa komunikacyjnego. Istotną poprawę odnotowano również dla wskaźnika jitter (12,9% vs 5,5%; $p=0,002$), wskaźnika nasilenia dysfonii DSI (-10,5 vs -3,6; $p=0,003$) oraz szorstkości głosu ($p=0,047$).

Prospektywne badanie Page 2017 objęło 10 pacjentów z dystonią ustno-żuchwową i współistniejącą dyzartrią. W porównaniu z osobami zdrowymi chorzy uzyskiwali istotnie gorsze wyniki jakości życia związanej z komunikacją; średni całkowity wynik ASHA QCL wynosił 4,17 vs 4,88 pkt w grupie kontrolnej ($p=0,001$). Nie wykazano istotnych zmian jakości życia po podaniu toksyny botulinowej typu A (Botox lub Xeomin). Całkowity wynik ASHA QCL wynosił 4,28 pkt przed leczeniem i 4,17 pkt po leczeniu ($p=0,347$); podobnie nie stwierdzono istotnych zmian w zakresie ogólnej jakości życia ani poszczególnych domen kwestionariusza.

Badanie Revuelta 2025 to retrospektywna analiza 6 pacjentów z dystonią języka, stanowiącą podtyp dystonii ustno-żuchwowej. Mediana subiektywnej poprawy po leczeniu onabotulinotoxinA lub incobotulinotoxinA wynosiła 60% (Q1-Q3: 12,5%-70%), natomiast mediana czasu utrzymywania się efektu terapeutycznego 1,5 miesiąca (Q1-Q3: 0-2,5 miesiąca).

Działania niepożądane występują zwykle w pierwszym tygodniu po podaniu i mają charakter przemijający. Mogą być związane zarówno z procedurą wstrzyknięcia (m.in. ból, obrzęk, rumień, krwaki, krwawienie), jak i farmakologicznym działaniem toksyny botulinowej typu A, prowadzącym do miejscowego osłabienia mięśni.

Ograniczeniami analizy klinicznej są przede wszystkim jednoramienny i obserwacyjny charakter większości badań oraz niewielka liczebność analizowanych populacji. Należy jednak podkreślić, że oceniane wskazania należą do wskazań ultrazadkowych.

Wszystkie odnalezione wytyczne (Manual of botulinum toxin therapy 2024, konsensus Dressler 2021, Dystonia Society 2017, Krasnodębska 2025, AAO-HSN 2018, AAOM 2018) są zgodne co do tego, że toksyna botulinowa stanowi podstawową metodę leczenia dystonii ogniskowych, w tym dystonii ustno-żuchwowej (OMD) i dystonii krtaniowej (dysfonii spastycznej). Leczenie powinno być indywidualizowane pod kątem obrazu klinicznego, zajętych mięśni oraz potrzeb pacjenta.

Analiza wpływu na budżet

W wariancie podstawowym analizy, zakładającym, że rozszerzenie wskazań refundacyjnych produktu leczniczego Xeomin spowoduje przejęcie części udziałów pozostałych produktów oraz dodatkowo wzrost populacji przyjmującej Xeomin o 5%, co daje sumarycznie wzrost liczby pacjentów leczonych produktem leczniczym Xeomin o 230 osób, generowane są dodatkowe wydatki dla NFZ wynoszące ok. 18,5 tys. PLN.

Dodatkowe informacje

Maksymalne dawki jednorazowe zaproponowane w zleceniu Ministra Zdrowia dla preparatu Xeomin w dystonii krtaniowej i dystonii twarzy są zgodne

z dawkami stosowanymi w programie lekowym B.28 w przypadku preparatu Botox. Według wytycznych klinicznych, przybliżona zależność między dawką onabotulinumtoxinA i incobotulinumtoxinA wynosi 1:1. Zatem, w przypadku zwiększenia maksymalnych dawek dopuszczalnych w programie B.28 dla produktu leczniczego Xeomin, analogiczna zmiana musiałaby też dotyczyć produktu Botox. Prawdopodobnie zweryfikowane musiałyby być też dawki dla produktu Dysport. Rada nie wnosi uwag do proponowanych dawek jednorazowych produktu leczniczego Xeomin.

Główne argumenty decyzji:

- Złoty standard w leczeniu objawowym dystonii ogniskowych;*
- Pozytywne rekomendacje towarzystw naukowych;*
- Prawdopodobny brak wpływu na wydatki płatnika publicznego.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), 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), z uwzględnieniem opracowania nr: DRTM.415.5.2026 „Xeomin (toksyna botulinowa typu A) we wskazaniu: „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w ramach programu lekowego B.28 Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)”; data ukończenia: 21.08.2026 r.