



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 120/2017 z dnia 30 października 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Calcort (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa
typu Duchenne'a (DMD)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, leku Calcort (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a (DMD), z jego ograniczeniem do drugiej linii leczenia u chorych, u których w pierwszej linii leczenia leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20%, w stosunku do wartości wyjściowych.

Uzasadnienie

Dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a (DMD) należy do grupy chorób rzadkich. Rokowanie w jej przypadkach jest fatalne, związane z postępującą niewydolnością oddechową i krążeniową, powodującą zgon chorych najczęściej w przedziale między 20-30 rokiem życia. Nie jest znane jej leczenie przyczynowe. Stosowane jest leczenie objawowe obejmujące przede wszystkim różne formy fizykoterapii. W ramach farmakoterapii zaleca się m. in. podawanie prednizonu, co może wpłynąć na opóźnienie rozwoju niektórych objawów klinicznych choroby.

W toku przeprowadzonej analizy nie zidentyfikowano wysokiej jakości dowodów naukowych przemawiających za przewagą efektów klinicznych wynikającą ze stosowania deflazakortu w porównaniu z prednizonem lub prednizolonem. Deflazakort nie jest dopuszczony do obrotu w Polsce. Na podstawie dostępnych danych można uznać, że profil bezpieczeństwa jego stosowania oraz przeciwwskazania do tego typu leczenia nie odbiegają, w istotny sposób, od oceny, w tym zakresie, innych glikokortykosteroidów. Ministerstwo Zdrowia, w latach 2015-2017, wydawało w ograniczonym zakresie zgody na sprowadzanie i refundację deflazakortu. Wydatki na ten cel nie były wysokie i nie powinny wzrosnąć znacząco w przypadkach zastosowania kryterium podanego w opinii Rady.

Przewodniczący Rady Przejrzystości



Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr OT.431.9.2017 „Calcort (deflazakort) we wskazaniu dystrofia mięśniowa typu Duchenne’a (DMD)”, Data ukończenia: 27 października 2017 r.