



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 148/2017 z dnia 4 grudnia 2017 roku  
w sprawie oceny leku Dysport (kompleks neurotoksyny  
clostridium botulinum typ A) kod EAN: 5909990729227,  
w ramach programu lekowego: „Spastyczność kończyny dolnej  
po udarze mózgu u dorosłych”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Dysport 500 j. kompleksu neurotoksyny clostridium botulinum typu A (toksyna botulinowa typu A), proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1 fiolka, EAN: 5909990729227, w ramach programu lekowego „Spastyczność kończyny dolnej po udarze mózgu u dorosłych”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Zaproponowany RSS jest akceptowalny.*

*Rada zgłasza uwagi do zapisów programu lekowego dotyczące dostosowania dawkowania do zapisów Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL) i kolejności stosowania dostępnych preparatów toksyny botulinowej:*

- należy dostosować zalecaną dawkę dla mięśnia płaszczkowatego zgodnie z zapisami ChPL (300–550 j.),*
- należy określić zasady postępowania w sytuacji, gdy u pacjenta leczonego przez maksymalny możliwy czas ponownie wystąpią kryteria kwalifikacji do programu.*

### Uzasadnienie

#### Problem kliniczny

*Spastyczność kończyny dolnej pojawiająca się po udarze, zgodnie z danymi z literatury europejskiej, występuje z częstością od 11% do 38%. Brak leczenia prowadzi do utrwalenia się przykurczów, zwłóknienia oraz kostnienia w obrębie mięśni i stawów. Obok rehabilitacji stosowane jest leczenie farmakologiczne, w którym wykorzystywane są leki doustne, dokanałowe oraz podawane miejscowo, wśród których istotną rolę odgrywa toksyna botulinowa. Jedynym refundowanym lekiem do miejscowego leczenia spastyczności kończyny dolnej jest produkt leczniczego Botox, który w analizie był traktowany jako technologia alternatywna.*



### Dowody naukowe i bezpieczeństwo

Ocenę skuteczności i bezpieczeństwa w porównaniu z komparatorem oparto na porównaniach pośrednich nie wykazując istotnych statystycznie różnic. Dowody naukowe o niskiej jakości wskazują na istotną statystycznie różnicę w spadku napięcia mięśni w 4. tygodniu na korzyść toksyny botulinowej, natomiast trudno ocenić korzyści w dalszym horyzoncie czasowym na podstawie dostępnych badań. Profil bezpieczeństwa jest porównywalny z refundowanym komparatorem.

Rekomendacje kliniczne w większości zalecają stosowanie preparatów toksyny botulinowej w leczeniu spastyczności kończyny dolnej, podkreślając, iż coraz więcej dowodów wskazuje na pozytywne efekty tej terapii (polskie PTN 2016, amerykańskie AHA/ASA 2016, kanadyjskie CSBPR 2015, brytyjskie RCP 2016, NICE 2013).

### Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna wskazuje, że stosowanie leku Dysport jest tańsze od stosowania leku Botox w wariancie uwzględniającym zaproponowany RSS, ale niepewnym parametrem w analizie jest dawkowanie wnioskowanego leku (przy dawkowaniu maksymalnym produkt leczniczy Dysport może być droższy niż Botox). W związku z wynikami AKL, które świadczą o podobnej skuteczności i bezpieczeństwie leku Dysport i Botox, w opinii analityków Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji. Analiza wpływu na budżet wskazuje, że pozytywna decyzja refundacyjna z perspektywy płatnika publicznego w wariancie z RSS może oznaczać niewielkie oszczędności. Analiza posiada jednak istotne ograniczenia. Wątpliwości budzi założenie dotyczące liczby chorych leczonych toksyną botulinową po pozytywnej decyzji refundacyjnej, bowiem zdaniem ekspertów należy w tym wypadku rozważyć możliwy wzrost populacji docelowej, co będzie skutkowało większymi wydatkami z budżetu NFZ. Innym ograniczeniem analizy jest przyjęte średnie dawkowanie Dysportu, które nie uwzględnia konieczności zużycia otwartych opakowań wnioskowanego leku w ciągu 24 godzin, a także aprioryczne założenie o przejęciu udziałów Dysportu oszacowane na podstawie udziałów rynkowych analogicznych leków w programie lekowym B.57, w ramach którego refundowany jest dodatkowy preparat toksyny botulinowej (Xeomin).

Rekomendacje refundacyjne są niejednolite. W pozytywnej rekomendacji HAS 2006 zwraca się uwagę na uznanie preparatu Dysport za lek I-rzutu w leczeniu miejscowej spastyczności kończyn górnych i dolnych (w połączeniu z fizjoterapią). Natomiast w rekomendacji negatywnej AWMSG 2017 zaznaczono, że lek Dysport nie może zostać zatwierdzony do użytku ze względu na brak wniosku ze strony producenta oraz brak oceny wykonanej przez

AWMSG oraz NICE. NICE nie podjęła jeszcze decyzji w sprawie rekomendowania leków do stosowania we wnioskowanym wskazaniu.

#### Główne argumenty decyzji

Wnioskowana technologia lekowa wykazuje skuteczność i bezpieczeństwo porównywalne z refundowanym obecnie komparatorem, zalecana jest w większości aktualnych rekomendacji klinicznych i w niektórych rekomendacjach refundacyjnych. Analiza ekonomiczna wskazuje na przewidywane niewielkie obciążenie dla budżetu, co pozwala na wydanie opinii pozytywnej o refundacji produktu leczniczego ze środków publicznych w ramach programu lekowego.

Wnioskowany produkt leczniczy uzyskał również pozytywną opinię Rady Przejrzystości i Prezesa AOTMiT we wskazaniu: leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10: I63; I61; I69) w ramach programu lekowego. Pozytywną rekomendację uzasadniono udowodnioną skutecznością terapeutyczną w zakresie redukcji napięcia mięśniowego oraz odczuwania bólu.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 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 analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4331.2.2017 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dysport (kompleks neurotoksyny Clostridium botulinum typ A) we wskazaniu: »Leczenie spastyczności kończyny dolnej po udarze mózgu«”. Data ukończenia: 23 listopada 2017.