



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 28/2020 z dnia 20 kwietnia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazakort) we wskazaniach: dystrofia mięśniowa typu Beckera, neuropatia nerwów obwodowych, zespół Ormonda, zespół Sjogrena, zespół Churga-Strauss, zespół antyfosfolipidowy

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki à 6 mg i 30 mg, we wskazaniach: dystrofia mięśniowa typu Beckera, neuropatia nerwów obwodowych, zespół Ormonda, zespół Sjogrena, zespół Churga-Strauss, zespół antyfosfolipidowy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zgodnie ze zleceniem Ministra Zdrowia oceniany produkt leczniczy ma być sprowadzany z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2019 r., poz. 499 z późn. zm.).

Wg danych otrzymanych z MZ dotyczące importu docelowego produktu leczniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu zespół Ormonda oraz zespół Sjogrena w okresie lipiec 2016 – styczeń 2019 sprowadzono łącznie 27 opakowań produktu leczniczego Calcort na łączną kwotę 2 842,20 zł netto. Dla pozostałych wskazań, tj. dystrofia mięśniowa typu Beckera, neuropatia nerwów obwodowych, zespół Churga-Strauss oraz zespół antyfosfolipidowy MZ nie wydał, żadnej zgody na refundację leku Calcort.

Rada Przejrzystości (w stanowiskach nr 74/2013 oraz 95 /2016) uznała za niezasadne wydanie zgody na refundację produktu Calcort (deflazakort) w części z powyższych wskazań (dystrofia mięśniowa, zespół Ormonda), z uwagi na brak dostatecznych danych pochodzących z badań naukowych. We wskazaniach neuropatia nerwów obwodowych, zespół Sjogrena, zespół Churga-Strauss oraz zespół antyfosfolipidowy produkt leczniczy Calcort nie podlegał ocenie Agencji.

Dowody naukowe

W rekomendacjach i wytycznych klinicznych brak informacji dotyczących deflazacortu jako zalecanego w ocenianych wskazaniach. W przypadku zespołu



Ormonda, zespołu Sjogrena, zespołu Churga-Strauss oraz zespołu antyfosfolipidowego odnoszą się ogólnie do stosowania glikokortykosteroidów.

Zasadniczo brak badań dotyczących stosowania deflazacortu w przedmiotowych wskazaniach. Zdaniem autorów publikacji Angelini 20149 sterydy są najbardziej odpowiednim dostępnym leczeniem dystrofii mięśniowej typu Beckera. Z treści publikacji wynika, że długotrwałe leczenie deflazakortem (w trybie „przerywanym”) zastosowano u 2 pacjentów, u których uzyskano wstępną poprawę, a następnie stabilizację stanu pacjenta, z zachowaniem funkcji mięśni i przedłużeniem zdolności chodzenia. Oczekuje się, że terapia deflazakortem utrzyma siłę mięśni kończyn górnych i opóźni pogorszenie czynności układu oddechowego i serca.

W opinii Konsultanta Krajowego w dz. Reumatologii, w przypadku zespołu Ormonda, zespołu Sjogrena, zespołu Churga-Strauss oraz zespołu antyfosfolipidowego „w Polsce stosujemy w leczeniu wyżej wymienionych chorób prednizon i metyloprednizon, dużo rzadziej prednizon. Uznaje się, że Calcort ma mniejszy wpływ na występowanie niektórych działań niepożądanych np. z przewodu pokarmowego czy na gospodarkę węglowodanową. Niestety badania przeprowadzone z tym lekiem są na małych grupach i są one nieliczne. Na dzień dzisiejszy nie ma wielu badań, które wykazywałyby zdecydowaną wyższość tego leku nad prednizonem lub metyloprednizonem”.

Problem ekonomiczny

Z uwagi na brak dokładnych danych o populacji docelowej, niemożliwe jest oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców.

Główne argumenty decyzji

Wg ekspertów nie jest to lek, który będzie powszechnie stosowany. Trudno ocenić ilu chorych będzie tym lekiem leczonych. Nie przeprowadzono wielu badań klinicznych z Calcortem. Brak jest istotnych, nowych dowodów naukowych oraz rekomendacji towarzystw naukowych uzasadniających zmianę wcześniejszego negatywnego stanowiska Rady.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.) oraz w zw. 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 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4311.4.2019b „Calcort (deflazakort) we wskazaniach: dystrofia mięśniowa

typu Beckera, neuropatia nerwów obwodowych, zespół Ormonda, zespół Sjogrena, zespół Churga-Strauss, zespół antyfosfolipidowy”, data ukończenia: 15 kwietnia 2020.