



**Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji**  
**Wydział Oceny Technologii Medycznych**

**Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia  
zmian w zapisach programów lekowych:**  
B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu  
twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” oraz  
B.30 “Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu  
dziecięcym (ICD-10 G80)”

Opracowanie nr: OT.4320.5.2019

Data ukończenia: 16 lipiec 2019 r.

## Wykaz wybranych skrótów

<b>Agencja / AOTMiT</b>	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
<b>APTA</b>	American Physical Therapy Association
<b>ChPL</b>	charakterystyka produktu leczniczego
<b>EFNS</b>	European Federation of Neurological Societies
<b>ICD-10</b>	Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych
<b>Lek</b>	produkt leczniczy w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2011 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2016 r., poz. 2142, z późn. zm.)
<b>MZ</b>	Ministerstwo Zdrowia
<b>NICE</b>	National Institute for Health and Care Excellence
<b>NIH</b>	National Institutes of Health
<b>NSW Health</b>	New South Wales Ministry of Health
<b>PTN</b>	Polskie Towarzystwo Neurologiczne
<b>Technologia</b>	technologia medyczna w rozumieniu art. 5 pkt 42 b ustawy o świadczeniach lub środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrób medyczny w rozumieniu art. 2 pkt 21 i 28 ustawy o refundacji
<b>Ustawa o świadczeniach</b>	ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.)
<b>Wytyczne AOTMiT</b>	Wytyczne przeprowadzania Oceny Technologii Medycznych (HTA). Załącznik do Zarządzenia nr 40/2016 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 13 września 2016 r. w sprawie wytycznych oceny świadczeń opieki zdrowotnej.

## Spis treści

<b>1. Podstawowe informacje o zleceniu .....</b>	<b>4</b>
<b>2. Przedmiot i historia zlecenia .....</b>	<b>5</b>
2.1. Korespondencja w sprawie .....	5
2.2. Opis zmian w ocenianym programie lekowym .....	6
<b>3. Problem zdrowotny .....</b>	<b>8</b>
<b>4. Ocena proponowanych zmian .....</b>	<b>14</b>
4.1. Rekomendacje kliniczne, opinie eksperckie oraz informacje z Charakterystyki Produktu Leczniczego	14
<b>5. Źródła.....</b>	<b>24</b>
<b>6. Załączniki.....</b>	<b>25</b>

# 1. Podstawowe informacje o zleceniu

Data wpłynięcia zlecenia do AOTMiT (RR-MM-DD)  
i znak pisma zlecającego

15.05.2019 r.,  
PLR.4604.527.2019.PB

Pełna nazwa świadczenia opieki zdrowotnej (z pisma zlecającego):

Ocena zmian w programach lekowych:

- „Leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”;
- “Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”.

Typ zlecenia: art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938, z późn. zm.)  
– realizacja innych zadań zleconych przez ministra właściwego do spraw zdrowia

- zlecenie Ministra Zdrowia złożone z urzędu
- zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej
- zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia będącego zgodnie z postanowieniami statutu towarzystwem naukowym o zasięgu krajowym – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej
- zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia
- zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia lub fundacji, których celem statutowym jest ochrona praw pacjenta – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej

## 2. Przedmiot i historia zlecenia

### 2.1. Korespondencja w sprawie

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r., o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2018 r., poz. 1510 z późn. zm.), pismem z dnia 13.03.2019 r., znak PLR.4604.527.2019.PB (data wpływu do AOTMiT 15.05.2019 r.), Minister Zdrowia przekazał Agencji zlecenie dotyczące przygotowania materiałów analitycznych, zgodnych z wytycznymi HTA, dotyczących zmian w programach lekowych:

- „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”;
- “Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”.

W załączeniu przekazane zostały proponowane, nowe zapisy ww. programów lekowych wraz ze skrótowym uzasadnieniem Konsultanta Krajowego w dziedzinie neurologii.

Poniższe opracowanie opiera się na informacjach pozyskanych z opinii ekspertów ankietowanych przez Agencję, wytycznych i rekomendacji klinicznych oraz charakterystyk poszczególnych produktów leczniczych (ChPL).

## 2.2. Opis zmian w ocenianym programie lekowym

W poniższej tabeli przedstawiono proponowane zmiany w zapisach programów lekowych B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” oraz B.30 „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”.

Tabela 1. Zmiany wprowadzone do programu

Lp.	Aktualny zapis	Proponowana zmiana
<b>B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”</b>		
1.	<p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>1) komplet badań diagnostycznych świadczących o przeprowadzeniu diagnostyki różnicowej i dokumentujących rozpoznanie choroby podstawowej:</p> <p>a) w kręcu karku u świadczeniobiorców poniżej 50 roku życia - badanie TK/MRI głowy, <b>RTG kręgosłupa szyjnego</b>, badanie poziomu miedzi lub ceruloplazminy, ocena przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej,</p>	<p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>2) komplet badań diagnostycznych świadczących o przeprowadzeniu diagnostyki różnicowej i dokumentujących rozpoznanie choroby podstawowej:</p> <p>a) w kręcu karku u świadczeniobiorców poniżej 50 roku życia - badanie TK/MRI głowy, <b>RTG <del>kręgosłupa szyjnego</del></b>, badanie poziomu miedzi lub ceruloplazminy, ocena przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej,</p>
2.	Brak zapisu	Dodanie zapisu w pkt 8: <b><u>brak skuteczności terapii</u></b>
3.	<p>1. Dawkowanie</p> <p>1.1 Botulinum A toxin a 500j. i Botulinum A toxin a 300j. (Dysport)</p> <p>Kręcz karku <b>500</b> - 1.000 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>100</b> - 250 j.m.</p> <p>Połowiczy kurcz twarzy <b>50</b> - 125 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa <b>40 - 80</b> j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>100</b> - 400 j.m.</p> <p>1.2 Botulinum A toxin a 100j. (Botox)</p> <p>Kręcz karku <b>100</b> - 200 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>20</b> - 50 j.m.</p> <p>Połowiczy kurcz twarzy <b>10</b> - 25 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa 10 - 20 j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>20</b> - 80 j.m.</p>	<p>1. Dawkowanie</p> <p>1.1 Botulinum A toxin a 500j. i Botulinum A toxin a 300j. (Dysport)</p> <p>Kręcz karku <b>maks. do</b> 1.000 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>maks. do</b> 250 j.m.</p> <p>Połowiczy kurcz twarzy <b>maks. do</b> 125 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa <b>maks. do 300</b> j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>maks. do</b> 400 j.m.</p> <p><b><u>Dystonia zadaniowa maks. do 300 j.m.</u></b></p> <p>1.2 Botulinum A toxin a 100j. (Botox)</p> <p>Kręcz karku <b>maks. do</b> 200 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>maks. do</b> 50 j.m.</p> <p>Połowiczy kurcz twarzy <b>maks. do</b> 25 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa <b>maks. do</b> 20 j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>maks. do</b> 80 j.m.</p> <p><b><u>Dystonia zadaniowa maks. do 80 j.m.</u></b></p>

	1.3 Botulinum A toxin a 100j. (Xeomin) Kręcz karku <b>100</b> - 200 j.m. Kurcz powiek <b>20</b> - 50 j.m.	1.3 Botulinum A toxin a 100j. (Xeomin) Kręcz karku <b>maks. do</b> 200 j.m. Kurcz powiek <b>maks. do</b> 50 j.m.  <b><u>Dystonia zadaniowa maks. do 80 j.m.</u></b>
4	Brak zapisu	Należy dodać dystonia krtaniowa i dystonia twarzy w dawkowaniu dla Xeominu
5.	1. Badania przy kwalifikacji 1) <b><u>morfologia krwi z rozmazem;</u></b> 2) poziom miedzi; 3) poziom ceruloplazminy; 4) <b><u>RTG kręgosłupa szyjnego;</u></b> 5) tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny	1. Badania przy kwalifikacji 1) <b><u>morfologia krwi z rozmazem;</u></b> 2) poziom miedzi; 3) poziom ceruloplazminy; 4) <b><u>RTG kręgosłupa szyjnego;</u></b> 5) tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny <b><u>głowy</u></b>
6.	2. Monitorowanie leczenia <b><u>EMG - badanie przeprowadzane w niektórych przypadkach zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG).</u></b>	2. Monitorowanie leczenia EMG – badanie przeprowadzane w niektórych przypadkach zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG).  <b><u>Ocena skuteczności poprzedniej iniekcji w skali GCI: od -3 do +3 (-3, -2, -1, 0, +1, +2, +3)</u></b>
<b>B.30. "Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)"</b>		
1.	2. Monitorowanie leczenia <b><u>EMG - badanie przeprowadzane zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG)</u></b>	2. Monitorowanie leczenia <b><u>Ocena skuteczności w skali GCI: od -3 do +3 (-3, -2, -1, 0, +1, +2, +3)</u></b>

### 3. Problem zdrowotny

<p><b>Klasyfikacja ICD-10:</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• G24.3 - kurczowy kręć karku;</li> <li>• G24.4 - dystonia samoistna w obrębie twarzy;</li> <li>• G24.5 - kurcz powiek;</li> <li>• G24.8 - inne dystonie;</li> <li>• G51.3 - przewlekły skurcz połowy twarzy;</li> <li>• G80 - dziecięce porażenie mózgowe.</li> </ul>
------------------------------------	---

#### Definicja jednostki chorobowej/stanu klinicznego, objawy

Dystonia jest schorzeniem układu nerwowego objawiającym się występowaniem ruchów mimowolnych, które powodują wyginanie i skręcanie różnych części ciała. Takie zaburzenia prowadzą do przyjmowania przez pacjentów nienaturalnych pozycji.

Podstawowym objawem dystonii są charakterystyczne mimowolne skurcze mięśni różnych części ciała, które nie poddają się kontroli, są niezależne od woli pacjenta. Mimowolne skurcze dotyczą jednocześnie mięśni agonistycznych i antagonistycznych (czyli np. grupy odpowiedzialnej za zginanie i innych odpowiadających za prostowanie kończyny). Charakterystyczne jest ich nakładanie się na ruchy dowolne, czyli zależne od woli chorego (np. sięganie ręką po jakiś przedmiot). Skurcze cechują się nieraz znacznymi dolegliwościami bólowymi i mogą być wywołane ruchami dowolnymi. Charakterystyczne jest obserwowane poprawy pod wpływem bodźców, np. dotknięcia określonych miejsc, często po takim postępowaniu symptomy ustępują.

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Kręć szyi (torticollis – neologizm bez rodzaju, znaczący dosłownie „skręcona szyja”, caput obstipum – „krzywa głowa”) jest zniekształceniem wynikającym z przymusowego utrzymywania głowy i szyi w przechyleniu na bok, ku barkowi. Początek choroby następuje pomiędzy 20. a 60. rokiem życia. Początkowo pojawiają się bóle karku, trudności w utrzymaniu głowy w prawidłowej pozycji, czasami występuje również drżenie głowy. Wraz z rozwojem choroby pacjent coraz częściej odczuwa konieczność przymusowego ustawienia głowy w skręconej pozycji. Najczęściej dochodzi do skręcania głowy w kierunku bocznym, ale może również występować pochylenie głowy do tyłu lub do przodu. Ostatecznie nieprawidłowe ustawienie głowy oraz nadmierne napięcie mięśni karku utrwala się. Pacjenci poprzez wypróbowane przez siebie sposoby, tj. dotknięcie policzka czy oparcie głowy potrafią na krótki czas przywrócić prawidłowe ułożenie głowy

Źródło: Jaroń i Werner 2013, <https://www.mp.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Kurcz powiek polega na mimowolnych skurczach mięśni okrężnych oczu. Początkowo obserwuje się szybkie mruganie o dużej częstotliwości, zamknięcie, a następnie długotrwałe i silne zaciskanie powiek. Nieleczony kurcz powiek może prowadzić do czynnościowej ślepoty.

W rozpoznaniu różnicowym kurczu powiek należy uwzględnić kurcz połowiczny twarzy, który prawie zawsze jest jednostronny. Wyjątkowo kurcz połowiczny twarzy może występować obustronnie, ale skurcze mięśni twarzy po obu stronach nie są tak synchroniczne jak w przypadku kurczu powiek.

Źródło: Neurologia Merrita 2005

Mózgowe porażenie dziecięce określa się jako trwałe, niepostępujące, lecz nie zmieniające zaburzenie postawy i ruchu, będące wynikiem uszkodzenia rozwijającego się ośrodkowego układu nerwowego w okresie ciąży, porodu lub w początkowym okresie życia po urodzeniu. Jest to zespół objawów o zróżnicowanej etiologii i obrazie klinicznym. U chorych z mózgowym porażeniem dziecięcym występują: opóźnienie w rozwoju psychoruchowym, niekiedy znaczne niedowłady kończyn (typu spastycznego), ruchy mimowolne, nieprawidłowości o typie niezborności ruchów, dominujących w obrazie klinicznym mózgowego porażenia dziecięcego, a także w różnym stopniu opóźnienie rozwoju umysłowego dziecka, zaburzenia w jego zachowaniu, padaczka, zaburzenia percepcji wzrokowej, słuchowej, różnego typu nieprawidłowości w rozwoju mowy itp.

Źródło: Milewska 2011

Przez długie lata obowiązywała definicja spastyczności wprowadzona przez Lance'a w 1980 roku. Uważał on, że spastyczność to zaburzenie ruchowe, będące jednym z objawów uszkodzenia górnego neuronu ruchowego, charakteryzujące się wzmożeniem napięcia mięśniowego, zależnym od szybkości rozciągania mięśnia, z wygórowaniem odruchu rozciągowego, powstałe w wyniku ośrodkowego odhamowania i następczej



nadpobudliwości tegoż odruchu. Niektóre badania, prowadzone w ostatnich latach, podważyły nadrzędną rolę wzmożonego odruchu rozciągowego na powstawanie spastyczności. W 2005 r. zaproponowano inną definicję, określając spastyczność jako zaburzenie czuciowo-ruchowe, powstałe na skutek uszkodzenia górnego neuronu ruchowego, objawiające się mimowolną, przerywaną lub stałą aktywacją mięśni. Klinicznie spastyczność może manifestować się między innymi jako:

- dystonia spastyczna – ciągła aktywność mięśniowa objawiająca się nieprawidłową postawą ciała
- gwałtowne skurcze (ang. spasm) – przemijająca, lecz nawracająca mimowolna aktywacja mięśni, występująca przypadkowo
- wzmożenie odruchów – zwiększona amplituda odruchów ścięgniętych
- zwiększony opór podczas wykonywania ruchu biernego

Źródło: Olchowik 2009

### Epidemiologia

Pierwotna dystonia o początku zachorowania w wieku dorosłym: 30 przypadków na 100 000 osób (USA)

Źródło: Neurologia Merrita 2005

W Europie żyje ok 500 000 ludzi z różnymi postaciami dystonii

Źródło: <http://dystoniapolska.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Częstość występowania MPD według różnych autorów oceniana jest na 1,5-3,3 przypadków na 1000 urodzonych żywo dzieci. W Polsce częstość występowania MPD szacowana jest na 2,0-2,5 na 1000 żywo urodzonych dzieci.

Źródło: Milewska 2011

### Etiologia i patogeneza

Przyczyny występowania dystonii nie zostały do końca poznane. Przypuszcza się, że jakąś rolę odgrywają uwarunkowania genetyczne albo inne schorzenia neurologiczne, w przebiegu których dystonia obserwowana jest jako jeden z objawów (np. udary, urazy, zakażenia, zatrucia, choroby zwyrodnieniowe).

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Przyczyny m.p.dz. są zwykle wieloczynnikowe i trudno jest dokładnie określić w jakim okresie życia pojawiło się uszkodzenie. Mimo częstszego monitorowania płodu i wzrostu liczby cięć cesarskich wykonywanych ze względu na zagrożenie dziecka, częstość m.p.dz. nie zmniejszyła się i od lat wynosi od 1,0 do 3,3 a według niektórych do 5,2 na 1000 żywo urodzonych w Polsce noworodków. Obserwuje się natomiast zmniejszanie częstości występowania ciężkich postaci m.p.dz. Biorąc pod uwagę czas działania czynnika szkodliwego, można podzielić przyczyny uszkodzenia Centralnego Układu Nerwowego (CUN) na 3 grupy:

- Uszkodzenia wewnątrzmaciczne – przyczyną są infekcje i wady Centralnego Układu Nerwowego, uszkodzenia toksyczne, płodowy zespół alkoholowy, czynniki dziedziczne i genetyczne, defekty enzymatyczne (nieprawidłowości związane z przyswajaniem kwasu foliowego) i zaburzenia przemiany materii, uszkodzenia komórki jajowej i plemnika przez promieniowanie jonizujące, aberracje chromosomalne (zaburzenie polegające na zmianie struktury lub liczby chromosomów), embriopatie (zaburzenie rozwoju zarodka zachodzące między 3. a 8. tygodniem po zapłodnieniu) i fetopatie (zaburzenie rozwoju powstające w okresie płodowym, tj. po 8. tygodniu ciąży) związane z zakażeniami wirusowymi, bakteryjnymi i pierwotniakowymi, niedotlenieniem i niedokrwieniem, a ponadto konflikt serologiczny w zakresie czynnika Rh i grup głównych A,B,O, niedobory witamin, kwasu foliowego i mikroelementów oraz cukrzyca.
- Uszkodzenia okołoporodowe – stany niedotlenienia i niedokrwienia jako następstwo urazów mechanicznych i/lub biochemicznych w przebiegu porodu związane z bezdechem, anomaliami łożyska, tonicznym skurczem macicy, krwawienia około – i śródkomorowe towarzyszące wcześniactwu, narkoza.
- Uszkodzenia poporodowe – urazy głowy, zapalenie opon mózgowych, zatory i zakrzepy naczyń mózgowych, uszkodzenia polekowe, niskie stężenie cukru we krwi i mózgu, drgawki gorączkowe. Podnosi się również znaczenie degradacji i chemizacji środowiska, zmianę trybu życia kobiety z czynnego i aktywnego na siedzący oraz czynniki emocjonalne.

Około 1/3 przypadków m.p.dz. jest wynikiem wczesnej patologii płodowej. Czynniki około – i śródporodowe są przyczyną schorzenia u 90% wcześniaków i tylko u 15% niemowląt z ciąży donoszonej. Prawie w 50% przypadków mamy do czynienia z przyczynami przedporodowymi.

Źródło: <http://www.porazenie.nazwa.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

**Spastyczność** - uszkodzenie OUN, a przez to wypadnięcie wpływu ośrodków nadrdzeniowych, prowadzi do nadwrażliwości układów regulujących napięcie mięśniowe na mediatory rdzenia. Ponadto wzrasta liczba kolaterali włókien w korzeniach tylnych i wytwarzają się dodatkowe synapsy w motoneuronach i interneuronach. W patogenezie spastyczności biorą więc udział wszystkie mechanizmy odpowiedzialne za regulację napięcia mięśniowego: nadmiernie pobudzone alfa-motoneurony, neurony hamujące presynaptycznie (Ia), hamujące recyprokalnie (Ia), neurony unerwienia nie-recyprokalnego (Ib) oraz/lub komórki Renshaw odpowiedzialne za hamowanie na zasadzie ujemnego sprzężenia zwrotnego. Niektóre badania wskazują także na nadmierne pobudzenie układu gamma, jednakże są autorzy, którzy kwestionują jego udział w powstawaniu spastyczności. Ważną rolę w patogenezie zjawisk towarzyszących spastyczności odgrywają także bodźce bólowe (drażnienie skóry, cewnikowanie pęcherza, infekcje dróg moczowych itp.). Bodźce te są odpowiedzialne za powstawanie tzw. skurczów zginaczy (ang. flexor spasms). Polegają one na jednoczesnym skurczu stawu biodrowego, kolanowego i skokowego, np. pod wpływem bodźca bólowego lub chociażby dotyku skóry objętej spastycznością kończyny. Odruchy te są przewodzone do rdzenia przez aferentne włókna odruchu zginania (tzw. FRA flexor reflex afferents) typu II z wrzecion mięśniowych oraz typu II, III, IV z mechanoreceptorów w mięśniach i stawach i w obrębie rdzenia mają charakter polisynaptycznych połączeń z motoneuronami. Są one także pod kontrolą ośrodków nadrdzeniowych.

Źródło: Olchowik 2009

### Klasyfikacja

Ze względu na genetyczny charakter zmian wyodrębniono trzy postaci dystonii: dystonię pierwotną, która nie przebiega z dodatkowymi objawami neurologicznymi i stanowi najczęstszą postać pojawiającą się jeszcze przed 20. rokiem życia; kolejna postać to tzw. dystonia plus, która charakteryzuje się występowaniem dodatkowych objawów i współistnieniem z innymi schorzeniami neurologicznymi (np. parkinsonizmem). Trzecia postać dystonii to napadowe dyskinezy z dystonią, które cechują się okresowością występowania nieprawidłowości, a między tymi epizodami nie stwierdza się żadnych zaburzeń neurologicznych.

Ze względu na charakter objawów dystonie dzieli się na ogniskowe (dotyczące jedynie np. mrugania powiekami, skurczu mięśni karku, krtani, dłoni), segmentalne (np. współistnienie nadmiernego zaciskania powiek ze skurczem innych mięśni twarzy, czy krtani), wielogniskowe (objawy dotyczą licznych lokalizacji), połowicze (skurcze pojawiają się po jednej stronie ciała) i uogólnione (ciężka postaci utrudniająca normalne funkcjonowanie, w których skurcze dotyczą wielu grup mięśniowych).

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Wyróżniamy trzy główne rodzaje kręczu szyi:

- kręcz szyi wrodzony pochodzenia mięśniowego – jest spowodowany zmianami w mięśniu mostkowo-obończykowo-sutkowym,
- kręcz szyi wrodzony pochodzenia kostnego – wynika z asymetrii w ukształtowaniu kręgow (kręg klinowy, mnogie zaburzenia kręgow, zespół Klippela-Feila),
- kręcz szyi nabyty – może występować z powodu różnych zmian chorobowych

Źródło: Jaroń i Werner 2013

### Klasyfikacja mózgowego porażenia dziecięcego

Każda idealna klasyfikacja powinna być powtarzalna, czuła, specyficzna i mieć wartość prognostyczną. Zmieniający się w czasie obraz kliniczny oraz stan funkcjonalny chorych z m.p.dz. wynika ze swoistej ewolucji zaburzeń neurologicznych zachodzących u rosnącego dziecka. Utrudnia to przyjęcie właściwego podziału.

Początkowe tendencje do klasyfikowania m.p.dz. z punktu widzenia neuroanatomopatologicznego ustępowały z czasem klasyfikacjom kliniczno–neurofizjologicznym obejmującym rodzaj patologii w mięśniach oraz rozkład topograficzny niedowładów. Współcześnie obserwowana jest tendencja do upraszczania klasyfikacji.

Stosowane są dwie podstawowe klasyfikacje.

A. Podział wg Ingrama z 1955r:

1. Obustronne porażenie kurczowe (diplegia) – (w stopniu -lekkim, umiarkowanym, ciężkim)
  - niedowład kończyn dolnych
  - niedowład 3 kończyn
  - niedowład 4 kończyn
2. Porażenie połowicze ( hemiplegia) – (w stopniu - lekkim, umiarkowanym, ciężkim)
  - lewostronne
  - prawostronne
3. Obustronne porażenie połowicze ( hemiplegia bilateralis)
4. Zespół mózdkowy
5. Zespół pozapiramidowy
  - postać dystoniczna
  - postać atetotyczna
  - postać płasawicza
  - postać z częstymi zmianami napięcia mięśniowego
6. Postacie mieszane.

B. Podział wg Hagberga (1984r):

1. Zespoły spastyczne: tetraplegia, diplegia, hemiplegia
2. Zespoły mózdkowe: wrodzona ataksja
3. Zespoły dyskinetyczne: postacie atetotyczne ( choreoatetoza), postacie dystoniczne

Źródło: <http://www.porazenie.nazwa.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

## Diagnostyka

Ustalenie rozpoznania dystonii możliwe jest po stwierdzeniu typowych objawów klinicznych i po dokładnym zebraniu wywiadu, który określa charakter symptomów, ich nasilenie i sytuacje, w których się pojawiają. W niektórych przypadkach dystonii możliwe jest potwierdzenie schorzenia przez wykonanie odpowiednich badań genetycznych. Ważne jest stwierdzenie, czy dystonia reaguje na zastosowanie małych dawek preparatu lewodopy z substancją hamującą enzym dekarboksylazę (jeśli potwierdzi się dobry efekt terapeutyczny to mamy do czynienia z typem 5 dystonii). W różnicowaniu dystonii należy brać pod uwagę przede wszystkim połowiczy kurcz twarzy, dystonie o charakterze psychogennym, chorobę Wilsona oraz inne schorzenia, w przebiegu których obserwuje się podobne objawy kliniczne. Ponadto należy uwzględnić inne zaburzenia neurologiczne, w których początkowym objawem mogą być niezależne od woli ruchy różnych części ciała (np. w przebiegu udaru, zatruc, zakażeń i innych schorzeń).

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

Wczesna diagnoza MPD jest sprawą o zasadniczym znaczeniu zarówno z punktu widzenia medycznego, jak i psychospołecznego. Podstawę diagnostyki MPD stanowi badanie dziecka metodami fizykalnymi. W przypadku niemowląt skuteczność badania jest warunkowana znajomością faz rozwojowych. W zakresie oceny neurorozwojowej zasadnicze znaczenie ma ocena aktywności ruchowej, a szczególnie napięcia mięśniowego oraz odruchów prostowania i postawy w przebiegu rozwoju psychoruchowego. Diagnostyka ukierunkowana jest na trzy zasadnicze cele:

- wczesne wykrywanie zagrożenia rozwojem MPD,
- identyfikację nieprawidłowości – niezbędną do stworzenia planu usprawnienia,
- ocenę efektów usprawnienia.

Diagnoza MPD jest bardzo trudna do przyjęcia dla większości rodziców. Czują się oni nieprzygotowani, zagubieni, przestraszeni i niekiedy oszukani przez los. Dlatego też bardzo ważne jest, aby neurolog dokonujący diagnozy był osobą rozumiejącą problem i potrafił odpowiednio pokierować rodziną tak, by jak najwcześniej rozpoczęto rehabilitację. Bowiem każdy dzień ćwiczeń wzmacnia malucha i daje mu większe szanse na poprawę jego stanu.

Źródło: Milewska 2011

Ocena spastyczności polega na stwierdzeniu, które mięśnie lub grupy mięśni są nadaktywne i określają efekt spastyczności we wszystkich aspektach funkcjonowania pacjenta, takich jak: zdolność poruszania się, możliwość pracy i codziennej aktywności życiowej. Identyfikacja spastycznych mięśni jest złożonym zadaniem, gdyż wiele mięśni może zaburzać ruchomość stawu, a nie wszystkie mięśnie potencjalnie powodujące deformację są spastyczne. W celu szczegółowej diagnostyki i oceny zjawiska spastyczności stosowane są metody kliniczne, neurofizjologiczne i biomechaniczne.

Źródło: Olchowik 2009

## Leczenie

W terapii dystonii zastosowanie znalazło postępowanie farmakologiczne, a w niektórych przypadkach metody chirurgiczne. Jeśli objawy mają charakter ogniskowy, korzystny efekt terapeutyczny uzyskuje się po wstrzyknięciach toksyny botulinowej (postępowanie to jednak wymaga powtarzania, co ściśle określony czas). W postaci dystonii przebiegającej z uogólnionymi ruchami mimowolnymi stosuje się preparaty lewodopy, które często są skuteczne. Ponadto w następnej kolejności podawać można leki cholinolityczne, baklofen, czy niektóre benzodiazepiny. Wskazania do leczenia operacyjnego dystonii ustala się indywidualnie w przypadkach nieskuteczności leczenia zachowawczego przy użyciu środków farmakologicznych. Występowanie objawów ze strony mięśni karku można leczyć chirurgicznie odnerwiając mięśnie odpowiedzialne za dystonię, a w postaciach uogólnionych dąży się operacyjnie do uszkodzenia struktur ośrodkowego układu nerwowego - gałki bladej lub wzgórze albo stymuluje się prądem o wysokiej częstotliwości tzw. jądro niskowzgórzowe.

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

W MPD stosuje się metody usprawniania:

- Metoda NDT-Bobath,
- Metoda Integracji Sensorycznej,
- Metoda Ruchu Rozwijającego wg Weroniki Sherborne,
- Metoda Vojty,
- Metoda Petö,
- Hipoterapia.

Źródło: Milewska 2011

W usprawnieniu dzieci z MPD podstawą podejmowania wszelkich działań jest wiedza o rozwoju prawidłowym oraz kolejno pojawiających się nieprawidłowych czynnościach ruchowych, wynikających z uszkodzenia OUN. Jest to bardzo ważne dla zwiększenia możliwości jak najwcześniejszego wykrywania i rozpoczęcia leczenia usprawniającego.

Leczenie MPD to żmudny proces, w który zaangażowani muszą być specjaliści wielu dziedzin medycyny i nauk paramedycznych oraz rodzice. Dopiero wtedy efekty stają się wymierne, a wyznaczone cele osiągalne.

Źródło: Milewska 2011

Metody leczenia spastyczności:

- Rehabilitacja
- Fizykoterapia
- Leczenie chirurgiczne
- Farmakoterapia

Metody farmakologiczne w leczeniu spastyczności mają różny mechanizm działania. Wyróżniamy preparaty o działaniu ogólnym, substancje podawane miejscowo na rdzeń, korzenie nerwowe, nerwy obwodowe czy punkty motoryczne. Z grupy leków o działaniu miejscowym największą popularnością cieszy się toksyna botulinowa (BTX), będąca białkiem produkowanym przez G(+) pałeczki jadu kiełbasianego (*Clostridium botulinum*). Początkowo stosowana była w leczeniu zęza i połowiczego kurczu twarzy. Stosowanie BTX daje możliwość wyłączenia określonych grup mięśni, a przed planowanymi zabiegami chirurgicznymi pozwala na czasowe wyłączenie określonego mięśnia i poznanie konsekwencji zabiegu dla równowagi mechanicznej stawów i sąsiednich grup mięśniowych. Inną grupą leków podawanych miejscowo są tak zwane chemiczne neurolityki, do których należą alkohol etylowy i fenol w stężeniach odpowiednio 45% i 4–6%. Ich działanie polega na nieselektywnej denaturacji białka w miejscu podania, co powoduje koagulację nerwu i martwicę mięśnia.

Źródło: Olchowik 2009

**Rokowanie**

Odpowiednie leczenie dystonii (za pomocą metod farmakologicznych lub operacyjnych) często przynosi poprawę, jednak u niektórych pacjentów nieprawidłowości nasilają się, a z czasem dochodzi do rozwoju trwałego kalectwa. W dystonii strun głosowych dodatkowo dojść może do powstania powikłań pod postacią zaburzeń głosowych. Często dystonia wiąże się ze znacznym pogorszeniem codziennego funkcjonowania i relacji międzyludzkich. Częściej u pacjentów z dystonią obserwuje się zaburzenia depresyjne i niską samoocenę. Szczególnie niekorzystnie rokują schorzenia o charakterze wielogniskowym, połowicznym i uogólnionym, ze względu na zwiększony obszar, którego dotyczą nieprawidłowości.

Źródło: <http://www.interna.com.pl> [data dostępu 24.06.2019 r.]

## 4. Ocena proponowanych zmian

Niniejsze opracowanie dotyczy oceny proponowanych zmian w programach lekowych „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” i „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”.

Zakres opracowania uwzględnia analizę wytycznych i rekomendacji praktyki klinicznej, charakterystyk produktów leczniczych Dysport, Botox, Xeomin oraz opinii ekspertów ankietowanych przez Agencję.

W wyniku wyszukiwania wytycznych klinicznych dotyczących zaproponowanych zmian w programie lekowym B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” oraz B.30. „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)” odnaleziono 6 rekomendacji dotyczących ww. wskazań. Rekomendacje odnoszące się do programu B.28 to: NIH 2015 (National Institutes of Health), EFNS 2011 (European Federation of Neurological Societies) oraz APTA Academy of Pediatric Physical Therapy 2018 (American Physical Therapy Association). Natomiast wytyczne dotyczące programu B.30 to rekomendacje: interdyscyplinarnej grupy ekspertów PTN 2018 (Polskie Towarzystwo Neurologiczne), NSW Health 2018 (New South Wales Ministry of Health) oraz NICE 2017 (National Institute for Health and Care Excellence). Odnaleziono rekomendacje jedynie w nieznaczny sposób odnosiły się do kwestii zaproponowanych zmian, a większość z nich w ogóle ich nie dotyczyło.

### 4.1. Rekomendacje kliniczne, opinie eksperckie oraz informacje z Charakterystyki Produktu Leczniczego

W poniższej tabeli zestawiono proponowane zmiany zapisów programów lekowych B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” oraz B.30. „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)” (tylko jedna zmiana związana z monitorowaniem leczenia). W poniższej tabeli przedstawiono informacje odnośnie poszczególnych propozycji zmian.

**Tabela 2. Ocena proponowanych zmian w zapisach programów lekowych lekowego B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)” oraz B.30. „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”**

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
<b>B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”</b>					
1.	1. Kryteria kwalifikacji  3) komplet badań diagnostycznych świadczących o przeprowadzeniu diagnostyki różnicowej i dokumentujących rozpoznanie choroby podstawowej:  1) w kręczy karku u świadczeniobiorców poniżej 50 roku życia -	1. Kryteria kwalifikacji  4) komplet badań diagnostycznych świadczących o przeprowadzeniu diagnostyki różnicowej i dokumentujących rozpoznanie choroby podstawowej:  w kręczy karku u świadczeniobiorców poniżej 50 roku życia - badanie	<u>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Stawek – przewodniczący Polskiego Towarzystwa Neurologicznego</u> Zmiana zasadna. „Badanie RTG niczego nie wnosi, pomnaża niepotrzebnie koszty”.  <u>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta</u> Zmiana zasadna. „RTG odcinka szyjnego nie wnosi nic do diagnozy dystonii”.  <u>Lek. Med. Ryszard Nowak – Konsultant Wojewódzki w dziedzinie neurologii.</u>	Żadna z rekomendacji nie odnosi się do zmiany.	W ChPL wszystkich uwzględnionych produktów leczniczych (Dysport, Botox i Xeomin) brak jest informacji wskazujących na konieczność/zasadność wykonywania RTG kręgosłupa szyjnego.

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
	badanie TK/MRI głowy, <b>RTG kręgosłupa szyjnego</b> , badanie poziomu miedzi lub ceruloplazminy, ocena przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej,	TK/MRI głowy, <b>RTG kręgosłupa szyjnego</b> , badanie poziomu miedzi lub ceruloplazminy, ocena przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej,	<p><u>małopolskie</u></p> <p>„Zmiana zasadna”</p> <p>„Wg mojej opinii wymóg wykonywania RTG odc. szyjnego kręgosłupa w tym wypadku nie ma zastosowania. Diagnoza oraz kwalifikacja do leczenia prowadzone są w ośrodkach mających doświadczenie. Niezwykle rzadko badanie jest istotne w procesie diagnostycznym i nie powinno być badaniem warunkującym kwalifikację do programu.”</p> <p>„Zapis nieznacznie przyspieszy kwalifikację do programu.”</p> <p><u>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek</u></p> <p>„Zmiana zasadna”</p> <p>„Wg mojej opinii wymóg wykonywania RTG odc. szyjnego kręgosłupa w tym wypadku nie ma zastosowania. Diagnoza oraz kwalifikacja do leczenia prowadzone są w ośrodkach mających doświadczenie. Niezwykle rzadko badanie jest istotne w procesie diagnostycznym i nie powinno być badaniem warunkującym kwalifikację do programu.”</p> <p>„Zapis nieznacznie przyspieszy kwalifikację do programu.”</p>		
2.	Brak zapisu	Dodanie zapisu w pkt 8: <b>brak skuteczności terapii</b>	<p><u>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Stawek</u> – przewodniczący Polskiego Towarzystwa Neurologicznego</p> <p>Zmiana zasadna. „Co najmniej w 3 kolejnych podaniach leku”.</p> <p><u>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta</u></p> <p>„Zmiana zasadna – ocena subiektywna lekarza”.</p> <p><u>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek</u></p> <p>„Zapis zasadny. Moje zastrzeżenie dotyczy jedynie zdefiniowania „braku skuteczności terapii”:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 3-krotny brak odpowiedzi(?)</li> <li>- stwierdzenie oporności (badanie</li> </ul>	Żadna z rekomendacji <u>nie</u> odnosi się do zmiany.	Zgodnie z ChPL <b>Botox</b> : <b>W przypadku niepowodzenia terapeutycznego po pierwszym zabiegu</b> , definiowanego jako brak znamiennej poprawy po miesiącu od podania produktu w porównaniu ze stanem wyjściowym, należy rozważyć następujące strategie postępowania:

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
			<p><i>laboratoryjne w kierunku oznaczenia przeciwciał przeciwko toksynie botulinowej typu A lub badanie EMG(?)</i></p> <p><i>- brak poprawy po leczeniu w 2 ośrodkach prowadzących leczenie (?)</i></p> <p><i>„Z uwagi na brak definicji „braku skuteczności terapii” trudno określić o ile zmieni się liczba pacjentów”</i></p> <p><u>Lek. Med. Ryszard Nowak</u></p> <p><i>„Zapis zasadny. Moje zastrzeżenie dotyczy jedynie zdefiniowania „braku skuteczności terapii”:</i></p> <p><i>„Z uwagi na brak definicji „braku skuteczności terapii” trudno określić o ile zmieni się liczba pacjentów”</i></p>		<p>wybór mięśni do wstrzyknięcia,</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- za małą dawkę produktu,</li> <li>- nieprawidłową technikę wstrzyknięć,</li> <li>- występowanie stałego przykurczu,</li> <li>- za słabe mięśnie antagonistyczne,</li> <li>- powstanie przeciwciał neutralizujących toksynę.</li> </ul> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Ponowne rozważenie wskazania do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej typu A.</li> <li>• Jeśli nie wystąpiły jakiegokolwiek działania niepożądane po pierwszym zabiegu, należy rozważyć powtórzenie leczenia ze zwróceniem uwagi na następujące problemy: <ul style="list-style-type: none"> <li>a) właściwy dobór dawki produktu w oparciu o analizę wcześniejszego niepowodzenia terapeutycznego,</li> <li>b) zastosowanie EMG,</li> <li>c) zachowanie trzymiesięcznego odstępu pomiędzy kolejnymi zabiegami.</li> </ul> </li> </ul> <p><b>W przypadku braku lub niezadowalającego skutku leczniczego po drugim cyklu leczenia należy rozważyć zastosowanie alternatywnych metod postępowania.</b></p> <p>Zgodnie z ChPL <b>Xeomin</b>:</p> <p>Jeżeli działanie produktu nie będzie widoczne w ciągu jednego miesiąca od pierwszego wstrzyknięcia, należy podjąć następujące środki:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- kliniczną weryfikację działania neurotoksyny na ostrzyknięty mięsień: np. badanie elektromiograficzne w wyspecjalizowanej jednostce,</li> <li>- analizę przyczyny klinicznej oporności na leczenie, np. niewystarczające wyizolowanie mięśnia, do którego wstrzyknięto produkt, zbyt mała dawka produktu, zła technika,</li> <li>- ocenę, czy wybór leczenia neurotoksyną botulinową typu A był właściwy w danym przypadku,</li> <li>- jeżeli w trakcie początkowego leczenia</li> </ul>



Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
					nie pojawiły się działania niepożądane produktu, można przeprowadzić dodatkową serię wstrzyknięć pod następującymi warunkami: 1) dobranie dawki produktu na podstawie analizy braku odpowiedzi klinicznej na ostatnie podanie produktu, 2) podanie produktu pod kontrolą badania EMG, 3) zalecany minimalny odstęp pomiędzy pierwszym i powtórny podaniem produktu nie został przekroczony.
3.	<p>1. Dawkowanie</p> <p>1.1 Botulinum A toxin a 500j. i Botulinum A toxin a 300j. (Dysport)</p> <p>Kręcz karku <b>500</b> - 1.000 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>100</b> - 250 j.m.</p> <p>Połowiczny kurcz twarzy <b>50</b> - 125 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa <b>40</b> - <b>80</b> j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>100</b> - 400 j.m.</p> <p>1.2 Botulinum A toxin a 100j. (Botox)</p> <p>Kręcz karku <b>100</b> - 200 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>20</b> - 50 j.m.</p> <p>Połowiczny kurcz twarzy <b>10</b> - 25 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa 10 - 20 j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>20</b> - 80 j.m.</p>	<p>2. Dawkowanie</p> <p>1.1 Botulinum A toxin a 500j. i Botulinum A toxin a 300j. (Dysport)</p> <p>Kręcz karku <b>maks. do</b> 1.000 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>maks. do</b> 250 j.m.</p> <p>Połowiczny kurcz twarzy <b>maks. do</b> 125 j.m.</p> <p>Dystonia krtaniowa <b>maks. do</b> 300 j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>maks. do</b> 400 j.m.</p> <p><b>Dystonia zadaniowa maks. do 300 j.m.</b></p> <p>1.2 Botulinum A toxin a 100j. (Botox)</p> <p>Kręcz karku <b>maks. do</b> 200 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>maks. do</b> 50 j.m.</p> <p>Połowiczny kurcz twarzy <b>maks. do</b> 25 j.m.</p>	<p>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Stawek – przewodniczący Polskiego Towarzystwa Neurologicznego</p> <p>Zmiany zasadne, poza dawką 300 j.m. w dystonii krtaniowej dla produktu Dysport.- „to zbyt duża dawka – proponuje zostawić do 80 (...)”.</p> <p>W przypadku pozostałych zmian – „dawki zgodne z praktyką kliniczną”.</p> <p>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta</p> <p>„Zmiana zasadna”.</p> <p>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek</p> <p>„Zmiana zasadna”</p> <p>„Uważam, że zapis programu powinien zawierać jedynie górny limit dawki toksyny botulinowej i powinien on być zgodny z ChPL produkt. Lekarz prowadzący program dobiera dawkę toksyny botulinowej do danego pacjenta. Nie zawsze pacjent wymaga minimalnej dawki ściśle określonej przez aktualnie obowiązujący program a to powoduje duży kłopot z rozliczeniem.</p> <p>Poszerzenie programu o dystonie zadaniowe uważam za potrzebne. Pacjenci z dystonią zadaniową stanowią &lt;20% chorych z dystonią ogniskową. Zwykle wymagają małych dawek toksyny botulinowej.”</p> <p>„Wzrost o ok. 30-40 pacjentów w skali</p>	<p>Żadna z rekomendacji nie odnosi się do zmiany.</p>	<p>Zgodnie z ChPL <b>Dysport</b>: Jednostki produktu leczniczego Dysport są swoiste dla tego produktu i nie są tożsame z jednostkami innych produktów zawierających toksynę botulinową.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>kręcz karku (kurczowy kręcz szyi)</u> – dawką początkową zalecaną w leczeniu kurczowego kręczu szyi jest 500 jednostek na osobę, podane w dawkach podzielonych, do dwóch lub trzech najaktywniejszych mięśni szyi. Maksymalna podawana dawka nie może przekraczać 1000 jednostek. U osób ze zmniejszoną masą mięśni lub u osób starszych można zmniejszyć dawkę. Zatem <b>proponowany zapis zgodny jest z dawkowaniem maksymalnym określonym w ChPL Dysport.</b></li> <li>• <u>kurcz powiek i połowiczny kurcz twarzy</u> – w badaniu klinicznym ustalającym zakres dawek produktu leczniczego Dysport w leczeniu samoistnego łagodnego kurczu powiek (BEB benign essential blepharospasm) wykazano znaczącą skuteczność dawki wynoszącej 40 jednostek na jedno oko. Po podaniu dawki 80 jednostek na jedno oko, działanie produktu utrzymywało się dłużej. Jednakże występowanie miejscowych działań niepożądanych, szczególnie opadania powiek, było związane z dawką leku. W leczeniu obustronnego kurczu powiek i połowicznego kurczu twarzy maksymalna stosowana dawka nie może przekraczać</li> </ul>

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
	<p>1.3 Botulinum A toxin a 100j. (Xeomin)</p> <p>Kręcz karku <b>100</b> - 200 j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>20</b> - 50 j.m.</p>	<p>Dystonia krtaniowa <b>maks. do 20</b> j.m.</p> <p>Dystonia twarzy <b>maks. do 80</b> j.m.</p> <p><b><u>Dystonia zadaniowa maks. do 80 j.m.</u></b></p> <p>1.3 Botulinum A toxin a 100j. (Xeomin)</p> <p>Kręcz karku <b>maks. do 200</b> j.m.</p> <p>Kurcz powiek <b>maks. do 50</b> j.m.</p> <p><b><u>Dystonia zadaniowa maks. do 80 j.m.</u></b></p>	<p>roku - włączenie do programu pacjentów z dystonią zadaniową.”</p> <p>Lek. Med. Ryszard Nowak</p> <p>„Zmiana zasadna”</p> <p>„Uważam, że zapis programu powinien zawierać jedynie górny limit dawki toksyny botulinowej i powinien on być zgodny z ChPL produkt. Lekarz prowadzący program dobiera dawkę toksyny botulinowej do danego pacjenta. Nie zawsze pacjent wymaga minimalnej dawki ściśle określonej przez aktualnie obowiązujący program a to powoduje duży kłopot z rozliczeniem. Poszerzenie programu o dystonie zadaniowe uważam za potrzebne. Pacjenci z dystonią zadaniową stanowią &lt;20% chorych z dystonią ogniskową. Zwykle wymagają małych dawek toksyny botulinowej”</p> <p>„Wzrost liczby pacjentów - włączenie do programu pacjentów z dystonią zadaniową”</p>		<p>całkowitej dawki 120 jednostek na oko. Zatem <b>proponowane zapisy są nieznacznie wyższe niż maksymalne dawkowanie przedstawione w ChPL Dysport.</b></p> <p>Zgodnie z ChPL <b>Botox</b>:</p> <p>Zalecane jednostki Allergan odnoszą się do produktu BOTOX i nie są porównywalne z jednostkami innych produktów toksyny botulinowej.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>kręcz karku (dystonia szyjna)</u> – zalecana dawka: nie można podawać więcej niż 200 jednostek na początku leczenia. Ewentualne zmiany dawki są możliwe w kolejnych wstrzyknięciach w zależności od reakcji na leczenie. Dawka całkowita: nie należy przekraczać całkowitej dawki 300 jednostek podanej podczas jednego zabiegu</li> <li>• <u>kurcz powiek, połowiczny kurcz twarzy</u> – dawka początkowa nie powinna przekraczać 25 jednostek na jedno oko. W leczeniu kurczu powiek, dawka całkowita nie powinna przekraczać 100 jednostek co 12 tygodni.</li> </ul> <p>Zatem <b>proponowane zapisy są niższe niż maksymalne dawkowanie przedstawione w ChPL Botox.</b></p> <p>Zgodnie z ChPL <b>Xeomin</b>:</p> <p>Z powodu różnic w oznaczaniu LD<sub>50</sub>, jednostki produktu XEOMIN są specyficzne tylko dla tego produktu. Dlatego jednostki dawkowania zalecane dla produktu XEOMIN nie są równoważne z jednostkami dawkowania innych produktów zawierających toksynę botulinową.</p> <p>- <u>kręcz karku</u> – zazwyczaj, w praktyce całkowita podawana dawka nie przekracza 200 jednostek. Dozwolona jest dawka do 300 jednostek. Nie powinno się podawać więcej niż 50 jednostek w jedno miejsce wstrzyknięcia.</p>

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
					<p>- <u>kurcz powiek</u> – dawka początkowa nie powinna przekraczać 25 jednostek na jedno oko. W leczeniu kurczu powiek, dawka całkowita nie powinna przekraczać 100 jednostek co 12 tygodni.</p> <p>Zatem <b>proponowane zapisy są niższe niż maksymalne dawkowanie przedstawione w ChPL Xeomin.</b></p> <p><b>W ChPL wszystkich uwzględnionych produktów leczniczych (Dysport, Botox i Xeomin) nie przedstawiono szczegółowych informacji odnoszących się do dawkowania w dystonii krtaniowej, dystonii twarzy oraz dystonii zadaniowej.</b></p>
4	Brak zapisu	Należy dodać dystonia krtaniowa i dystonia twarzy w dawkowaniu dla Xeominu	<p><u>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Sławek – przewodniczący Polskiego Towarzystwa Neurologicznego</u> Zmiana zasadna – brak uzasadnienia.</p> <p><u>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta</u> Brak opinii.</p> <p><u>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek</u> „Zmiana zasadna” „Mimo braku sensowności niestosowania Xeominu w tych wskazaniach według mojej opinii zapis powinien być zgodny z ChPL produktu.” „Brak wpływu na liczbę pacjentów. Aktualnie w obiegu są inne toksyny botulinowe, które można zastosować w tych wskazaniach.”</p> <p><u>Lek. Med. Ryszard Nowak</u> „Zmiana zasadna” „Mimo braku sensowności niestosowania Xeominu w tych wskazaniach według mojej opinii zapis powinien być zgodny z ChPL produktu.” „Brak wpływu na liczbę pacjentów. Aktualnie w obiegu są inne toksyny botulinowe, które można zastosować w tych wskazaniach.”</p>	Żadna z rekomendacji <u>nie odnosi się do zmiany.</u>	Zgodnie z ChPL Xeomin zarejestrowany jest do objawowego leczenia kurczu powiek, dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (kurczowy kręczy) i poudarowej spastyczności kończyny górnej z objawami zgięcia nadgarstka. <p>W ChPL nie przedstawiono zapisów odnoszących się w szczególności do dystonii krtaniowej oraz dystonii twarzy.</p>

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
5.	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <p>1) <u>morfologia krwi z rozmazem</u>;</p> <p>2) poziom miedzi;</p> <p>3) poziom ceruloplazminy;</p> <p>4) <u>RTG kręgosłupa szyjnego</u>;</p> <p>1) 5) tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <p>1) <u>morfologia krwi z rozmazem</u>;</p> <p>2) poziom miedzi;</p> <p>3) poziom ceruloplazminy;</p> <p>4) <u>RTG kręgosłupa szyjnego</u>;</p> <p>5) tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny <u>głowy</u></p>	<p>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Stawek Zmiany zasadne. „Nie ma medycznego uzasadnienia, niepotrzebne koszty”.</p> <p>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta Zmiany zasadne. „Zmiana zasadna, doprecyzowanie zakresu badań”.</p> <p>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek „Zmiana zasadna” „Według mojej opinii przedstawiona zmiana zawiera minimalną i konieczną ilość badań potrzebnych w procesie kwalifikacji do leczenia.” „Zapis nieznacznie przyspieszy kwalifikację do programu.” <u>Lek. Med. Ryszard Nowak</u> „Zmiana zasadna” „Według mojej opinii przedstawiona zmiana zawiera minimalną i konieczną ilość badań potrzebnych w procesie kwalifikacji do leczenia.” „Zapis nieznacznie przyspieszy kwalifikację do programu.”</p>	<p><b>NIH 2015</b> Rekomendacje <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanych zmian.</p> <p><b>EFNS 2011</b> Wg rekomendacji <u>rezonans magnetyczny głowy nie jest rutynowo stosowany</u>, gdy diagnoza dotycząca pierwotnej dystonii jest potwierdzona, jednak rezonans magnetyczny <u>jest konieczny do diagnostyki wtórnych form dystonii</u>, a tomografia komputerowa w celu rozróżnienia akumulacji wapnia i żelaza.</p> <p><b>APTA 2018</b> Wytyczne <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanych zmian. Rekomendacje dotyczą jedynie fizjoterapii dzieci z wrodzonym kręczem szyi.</p>	<p>W ChPL wszystkich uwzględnionych produktów leczniczych (Dysport, Botox i Xeomin) brak jest informacji wskazujących na konieczność/zasadność wykonywania morfologii krwi oraz RTG kręgosłupa szyjnego.</p> <p>Charakterystyki poszczególnych produktów leczniczych zwracają jedynie uwagę na konieczność zachowania szczególnej ostrożności w przypadku pacjentów z jakimkolwiek zaburzeniami układu krzepnięcia krwi oraz u pacjentów stosujących leki przeciwzakrzepowe.</p>
6.	<p>2. Monitorowanie leczenia</p> <p><u>EMG - badanie przeprowadzane w niektórych przypadkach zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG).</u></p>	<p>2. Monitorowanie leczenia</p> <p>EMG – badanie przeprowadzane w niektórych przypadkach zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG).</p> <p><b>Ocena skuteczności poprzedniej iniekcji w skali GCI: od -3 do +3 (-3, -2, -1, 0, +1, +2, +3)</b></p>	<p>Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Stawek Zmiana zasadna. „EMG nie daje żadnych informacji co do skuteczności leczenia. Prosta skala powszechnie uznawana (GCI - przyp .analitka)”.</p> <p>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta „Zmiana zasadna”.</p> <p>Dr n. med. Małgorzata Dec-Ćwiek „Zmiana zasadna” „Według mojej opinii aktualny zapis jest nieprecyzyjny. Podczas leczenia nie ocenia się jego skuteczności za pomocą badania EMG. W wyjątkowych przypadkach można posłużyć się tym badaniem (jako badaniem pomocniczym) podczas wyboru mięśni objętych procesem chorobowym. Ponadto uważam za konieczne dodanie</p>	<p><b>NIH 2015</b> Rekomendacje <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanej zmiany w Programie Lekowym dotyczącej monitorowania leczenia za pomocą GCI. Rekomendacje jedynie zaznaczają <u>możliwość zastosowania elektromiografii</u> w uzasadnionych przypadkach.</p> <p><b>EFNS 2011</b> Rekomendacje <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanej zmiany w Programie Lekowym dotyczącej monitorowania leczenia za pomocą GCI. Odniesiono się jedynie do <u>możliwości wykorzystania EMG</u> w celu oceny charakterystyki dystonii.</p>	<p>Zgodnie z ChPL <b>Botox</b> kliniczna weryfikacja działania toksyny w mięśniu/mięśniach po wstrzyknięciu. może obejmować badanie elektromiograficzne (EMG).</p> <p>Dodatkowo ChPL Botox zwraca uwagę, że w przypadku trudności identyfikacji poszczególnych mięśni, należy dokonywać wstrzyknięć pod kontrolą EMG.</p> <p>ChPL <b>Dysport</b> odnosi się do EMG w celu precyzyjnej lokalizacji miejsca iniekcji - chociaż miejsca iniekcji można określić palpacyjnie, zaleca się stosowanie jednej z technik lokalizacji mięśni: np. EMG, elektrostymulacji lub USG.</p> <p>Dodatkowo w ChPL Dysport widnieje następujący zapis: „We wszystkich innych postaciach kręczy szyi identyfikacja</p>

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
			<p>zapisu o możliwości/ konieczności stosowania USG/ EMG w celu identyfikacji mięśni do iniekcji w uzasadnionych przypadkach. Zasadna jest ocena skuteczności terapii za pomocą skali GCI.”</p> <p>„Zapis może spowodować nieznaczne zmniejszenie liczby pacjentów kwalifikowanych do programu z uwagi na brak kompetencji i doświadczenia w zakresie wykonywania USG lub EMG u prowadzących program w niektórych ośrodkach.”</p> <p>Lek. Med. Ryszard Nowak</p> <p>„Zmiana zasadna”</p> <p>„Według mojej opinii aktualny zapis jest nieprecyzyjny. Podczas leczenia nie ocenia się jego skuteczności za pomocą badania EMG. W wyjątkowych przypadkach można posłużyć się tym badaniem (jako badaniem pomocniczym) podczas wyboru mięśni objętych procesem chorobowym. Ponadto uważam za konieczne dodanie zapisu o możliwości/ konieczności stosowania USG/ EMG w celu identyfikacji mięśni do iniekcji w uzasadnionych przypadkach. Zasadna jest ocena skuteczności terapii za pomocą skali GCI.”</p> <p>„Zapis może spowodować nieznaczne zmniejszenie liczby pacjentów kwalifikowanych do programu z uwagi na brak kompetencji i doświadczenia w zakresie wykonywania USG lub EMG u prowadzących program w niektórych ośrodkach.”</p>	<p><b>APTA 2018</b></p> <p>Wytyczne <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanych zmian w Programie Lekowym. Rekomendacje dotyczą jedynie fizjoterapii dzieci z wrodzonym kręczem szyi.</p>	<p>i leczenie najbardziej aktywnych mięśni zależy od wiedzy specjalistycznej lekarzy i wyników badania EMG. EMG należy stosować w diagnostyce wszystkich złożonych postaciach kręczy szyi, w celu ponownej oceny po nieskutecznych iniekcjach w nieskomplikowanych przypadkach oraz w celu ukierunkowania iniekcji do głęboko położonych mięśni lub u pacjentów z nadwagą, u których palpacyjne badanie mięśni szyi jest trudne”.</p> <p>ChPL <b>Xeomin</b> wymienia EMG jako przykładową procedurę przeprowadzaną przy podawaniu leku.</p>
		<b>B.30. "Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)"</b>			
1.	2. Monitorowanie leczenia <b><u>EMG - badanie przeprowadzane zgodnie z harmonogramem dawkowania (w niektórych przypadkach uzasadniony)</u></b>	2. Monitorowanie leczenia <b><u>Ocena skuteczności w skali GCI: od -3 do +3 (-3, -2, -1, 0, +1, +2, +3)</u></b>	Prof. Dr hab. N. med. Jarosław Sławek Zmiana zasadna. „EMG nie daje żadnych informacji co do skuteczności leczenia. Prosta skala powszechnie uznawana (GCI - przyp .analityka). Dodałbym – „w złożonych przypadkach dystonii zalecane podawanie pod	<b>PTN 2018</b> Rekomendacje <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanej zmiany w Programie Lekowym dotyczącej monitorowania leczenia za pomocą GCI. Dodatkowo wytyczne obejmują	Zgodnie z ChPL <b>Botox</b> kliniczna weryfikacja działania toksyny w mięśniu/mięśniach po wstrzyknięciu. może obejmować badanie elektromiograficzne (EMG). Dodatkowo ChPL Botox zwraca uwagę, że w przypadku trudności identyfikacji

Numer zmiany	Obecny zapis	Proponowana zmiana	Opinie ekspertów	Rekomendacje kliniczne	ChPL
	<u>jest wybór miejsca podania toksyny botulinowej przy pomocy badania EMG</u>		<p><i>kontrolą USG</i>".</p> <p>Dr hab. N. med. Ilona Kopyta Zmiana zasadna. „Zasadne jest usunięcie zapisu o stosowaniu EMG w monitorowaniu efektu leczenia – EMG nie służy do monitorowania”.</p> <p>Pozostali eksperci nie odnieśli się do tej zmiany, należy jednak zwrócić uwagę, że zmiana ta jest analogiczna do zmiany nr 6 w programie lekowym B.28.</p>	<p>jedynie populację dorosłych pacjentów.</p> <p><b>NSW Health 2018</b> Wytyczne <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanej zmiany w Programie Lekowym dotyczącej monitorowania leczenia za pomocą GCI. Jedynie zaznaczono, iż <u>EMG wykorzystuje się w celu oceny czasu aktywności mięśni</u>.</p> <p><b>NICE 2017</b> Wytyczne <u>nie odnoszą się</u> do zaproponowanej zmiany w Programie Lekowym dotyczącej monitorowania leczenia za pomocą GCI. Wytyczne obejmują populację pacjentów poniżej 25 roku życia z porażeniem mózgowym.</p>	<p>poszczególnych mięśni, należy dokonywać wstrzyknięć pod kontrolą EMG.</p> <p>ChPL <b>Dysport</b> odnosi się do EMG w celu precyzyjnej lokalizacji miejsca iniekcji - chociaż miejsca iniekcji można określić palpacyjnie, zaleca się stosowanie jednej z technik lokalizacji mięśni: np. EMG, elektrostymulacji lub USG.</p> <p>Dodatkowo w ChPL Dysport widnieje następujący zapis: „We wszystkich innych postaciach kręczy szyi identyfikacja i leczenie najbardziej aktywnych mięśni zależy od wiedzy specjalistycznej lekarzy i wyników badania EMG. EMG należy stosować w diagnostyce wszystkich złożonych postaciach kręczy szyi, w celu ponownej oceny po nieskutecznych iniekcjach w nieskomplikowanych przypadkach oraz w celu ukierunkowania iniekcji do głęboko położonych mięśni lub u pacjentów z nadwagą, u których palpacyjne badanie mięśni szyi jest trudne”.</p> <p>ChPL <b>Xeomin</b> wymienia EMG jako przykładowa procedura przeprowadzana przy podawaniu leku.</p>

Zmiany w programie B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”:

**Zmiana nr 1** – według opinii ekspertów proponowana zmiana zapisów jest zasadna, a badanie RTG nie jest konieczne podczas kwalifikacji pacjentów do programu lekowego i generuje zbędne koszty. W ChPL wszystkich uwzględnionych produktów leczniczych (Dysport, Botox i Xeomin) brak jest informacji wskazujących na konieczność/zasadność wykonywania RTG kręgosłupa szyjnego. Odnalezione rekomendacje kliniczne również nie wskazują konieczności wykonywania RTG kręgosłupa szyjnego.

**Zmiana nr 2** – według opinii ekspertów proponowane zmiany zapisów są zasadne. Zarówno eksperci kliniczni jak i Agencja zwracają uwagę, na konieczność doprecyzowania braku skuteczności terapii. Eksperci proponują zdefiniowanie braku skuteczności jako brak poprawy po co najmniej 3 kolejnych podaniach leku lub stwierdzenie oporności (badanie laboratoryjne w kierunku oznaczenia przeciwciał przeciwko toksynie botulinowej typu A lub badanie EMG), lub brak poprawy po leczeniu w 2 ośrodkach prowadzących leczenie. W ChPL Botox i Xeomin odnaleziono informacje, że w przypadku niepowodzenia terapeutycznego po pierwszym zabiegu, definiowanego jako brak znamiennej poprawy po miesiącu od podania produktu w porównaniu ze stanem wyjściowym, należy rozważyć strategię postępowania, dodatkowo w ChPL Botox widnieje zapis, że w przypadku braku lub niezadowalającego skutku leczniczego po drugim cyklu leczenia należy rozważyć zastosowanie alternatywnych metod postępowania.

**Zmiana nr 3** – według opinii ekspertów proponowane zmiany zapisów są zasadne (poza zapisem o 300 j.m. w dystonii krtaniowej dla produktu Dysport, który najprawdopodobniej jest omyłką) i zgodne z praktyką kliniczną. Ekspersi uważają za zasadne odniesienie się jedynie maksymalnej dawki, zgodnie z ChPL dla poszczególnych produktów leczniczych. Odnalezione wytyczne kliniczne nie precyzują dawek maksymalnych poszczególnych produktów.

W przypadku leku Dysport należy zwrócić uwagę, że w kurczu powiek i połowicznym kurczu twarzy zaproponowane zapisy są nieznacznie wyższe niż maksymalne dawkowanie przedstawione w ChPL Dysport (proponowane jest 125 j.m. na jedno oko i w połowicznym kurczu twarzy, natomiast ChPL mówi o maksymalnej dawce równej 120 j.m.). W przypadku leków Botox i Xeomin proponowane zapisy są niższe niż maksymalne dawkowanie określone w ChPL tych produktów leczniczych (kręcz karku – proponowana maksymalna dawka 200 j.m., natomiast ChPL mówi o nieprzekraczaniu dawki 300 j.m. podczas jednego zabiegu; kurcz powiek – proponowana maksymalna dawka 50 j.m., natomiast ChPL mówi, że dawka całkowita nie powinna przekraczać 100 jednostek co 12 tygodni.).

Należy dodać, że ChPL żadnego z uwzględnionych produktów leczniczych nie odnosi się do dawkowania leków w dystonii krtaniowej, dystonii twarzy oraz dystonii zadaniowej.

**Zmiana nr 4** – według opinii ekspertów proponowane zmiany zapisów są zasadne. Zgodnie z ChPL Xeomin zarejestrowany jest do objawowego leczenia kurczu powiek, dystonii szyjnej z przewagą komponenty rotacyjnej (kurczowy kręcz szyi) i poudarowej spastyczności kończyny górnej z objawami zgięcia nadgarstka. W ChPL nie przedstawiono zapisów odnoszących się w szczególności do dystonii krtaniowej oraz dystonii twarzy. W odnalezionych wytycznych klinicznych nie odnaleziono informacji odnoszących się do proponowanej zmiany.

**Zmiana nr 5** – według opinii ekspertów proponowane zmiany zapisów są zasadne, a badania przy kwalifikacji po modyfikacji zapisów są wystarczające w procesie kwalifikacji do leczenia, a zbędne badania generują niepotrzebne koszty. W ChPL wszystkich uwzględnionych produktów leczniczych (Dysport, Botox i Xeomin) brak jest informacji wskazujących na konieczność/zasadność wykonywania morfologii krwi oraz RTG kręgosłupa szyjnego. Odnalezione rekomendacje kliniczne również nie wskazują konieczności wykonywania usuniętych z zapisów badań. W przypadku morfologii krwi brak jest uwzględnienia jej wyników w kryteriach kwalifikacji do programu, co może stanowić dodatkową przesłankę za usunięciem tego badania. W przypadku RTG kręgosłupa szyjnego proponowana zmiana jest zgodna ze zmianą nr 1 (usunięcie RTG kręgosłupa szyjnego z kryteriów kwalifikacji do programu).

**Zmiana nr 6** – według opinii ekspertów zmiana jest zasadna. Zgodnie z zapisami ChPL poszczególnych produktów leczniczych oraz opinii ekspertów EMG nie służy do monitorowania leczenia, jest natomiast wykorzystywane, w niektórych przypadkach, przy podawaniu leku – podczas wyboru mięśni objętych procesem chorobowym. Odnalezione wytyczne kliniczne nie wnoszą dodatkowych informacji odnośnie zasadności ocenianej zmiany. Ponadto eksperci zwracają uwagę na konieczność dodania zapisu o możliwości/ konieczności stosowania USG/ EMG w celu identyfikacji mięśni do iniekcji w uzasadnionych przypadkach.

B.30. "Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)":

**Zmiana nr 1** – według opinii ekspertów zmiana jest zasadna. Zgodnie z zapisami ChPL poszczególnych produktów leczniczych oraz opinii ekspertów EMG nie służy do monitorowania leczenia, jest natomiast wykorzystywane, w niektórych przypadkach, przy podawaniu leku – podczas wyboru mięśni objętych procesem chorobowym. Prof. Sławek zwraca uwagę na zasadność dodania zapisu o możliwości podawania leku pod kontrolą USG. Odnalezione wytyczne kliniczne nie odnoszą się do zasadności ocenianej zmiany.

## 5. Źródła

### Rekomendacje kliniczne

<b>APTA 2018</b>	<a href="https://rccinc.ca/wp-content/uploads/2019/02/Clinical-Practice-Guideline-for-Physical-Therapy-Management-of-Congenital-Muscular-Torticollis.pdf">https://rccinc.ca/wp-content/uploads/2019/02/Clinical-Practice-Guideline-for-Physical-Therapy-Management-of-Congenital-Muscular-Torticollis.pdf</a>
<b>EFNS 2011</b>	<a href="https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/j.1468-1331.2010.03042.x">https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/j.1468-1331.2010.03042.x</a>
<b>NICE 2017</b>	<a href="https://www.nice.org.uk/guidance/ng62/resources/cerebral-palsy-in-under-25s-assessment-and-management-pdf-1837570402501">https://www.nice.org.uk/guidance/ng62/resources/cerebral-palsy-in-under-25s-assessment-and-management-pdf-1837570402501</a>
<b>NIH 2015</b>	<a href="https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4248237/pdf/nihms633954.pdf">https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4248237/pdf/nihms633954.pdf</a>
<b>NSW 2018</b>	<a href="https://www1.health.nsw.gov.au/pds/ActivePDSDocuments/GL2018_006.pdf">https://www1.health.nsw.gov.au/pds/ActivePDSDocuments/GL2018_006.pdf</a>
<b>PTN 2018</b>	<a href="https://journals.viamedica.pl/polski_przeglad_neurologiczny/article/view/58409/45063">https://journals.viamedica.pl/polski_przeglad_neurologiczny/article/view/58409/45063</a>

### Pozostałe publikacje

<b>Milewska 2011</b>	<a href="http://www.czytelniamedyczna.pl/3919,analiza-czynnikow-ryzyka-mozgowego-porazenia-dzieciecego.html">http://www.czytelniamedyczna.pl/3919,analiza-czynnikow-ryzyka-mozgowego-porazenia-dzieciecego.html</a>
<b>Jaroń i Werner 2013</b>	<a href="http://www.czytelniamedyczna.pl/4518,analiza-postepowania-leczniczego-dziecka-z-kreczem-szyi-pochodzenia-miesniowego.html">http://www.czytelniamedyczna.pl/4518,analiza-postepowania-leczniczego-dziecka-z-kreczem-szyi-pochodzenia-miesniowego.html</a>
<b>Olchowik 2009</b>	<a href="https://child-neurology.eu/neurologia_36-47-57.pdf">https://child-neurology.eu/neurologia_36-47-57.pdf</a>



## 6. Załączniki

**Załącznik 1.** B.28 „Leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy (ICD-10 G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G51.3)”

**Załącznik 2.** B.30. “Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G80)”