



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 11/2020 z dnia 27 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a, u których leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20% w stosunku do wartości wyjściowej

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazacort), tabletki à 6 mg i 30 mg dla pacjentów pediatrycznych we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a, u których leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20% w stosunku do wartości wyjściowej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dystrofia mięśniowa Duchenne jest nieuleczalną, rzadką chorobą mięśni powodującą duże cierpienie i znaczne skracającą życie. Od kilku lat stosowane są w tej chorobie kortykosteroidy, korzystnie wpływający na siłę mięśniową. Stosowanie kortykosteroidów ma liczne działania niepożądane, jednym z nich jest znaczny przyrost masy ciała stanowiący dodatkowy ciężar dla nieuchronnie słabnących mięśni. Deflazakort powoduje mniejszy przyrost masy ciała niż powszechnie stosowany w tym wskazaniu prednison.

Dowody naukowe

Dowody naukowe wskazujące, że deflazakort powoduje mniejszy przyrost masy ciała niż powszechnie stosowany prednison, są bardzo niskiej jakości, przez co są mało wiarygodne.

Problem ekonomiczny

Terapia znajduje zastosowanie u maksymalnie kilkunastu chłopców rocznie.

Główne argumenty decyzji

Brak dowodów naukowych na wyższą skuteczność lub większe bezpieczeństwo deflazakortu w stosunku do powszechnie dostępnych preparatów kortykosteroidowych.



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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr OT.4311.18.2019 „Calcort (deflazakort) dla pacjentów pediatrycznych ze wskazaniem dystrofia mięśniowa typu Duchenne’a, u których leczenie glikokortykosteroidami spowodowało wzrost masy ciała przekraczający 20% w stosunku do wartości wyjściowej”, data ukończenia: 23 stycznia 2020.