



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Opinia Rady Przejrzystości

nr 137/2020 z dnia 8 czerwca 2020 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną prednisonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną prednisonum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia.*

#### Uzasadnienie

*Miopatie wrodzone to choroby mięśni uwarunkowane genetycznie, w których na podstawie badania histopatologicznego wycinka mięśniowego zidentyfikowano swoiste zmiany strukturalne włókien mięśniowych. Nieprawidłowości strukturalne włókien mięśniowych ujawniają się klinicznie osłabieniem mięśni i napięcia mięśniowego. Jest to grupa heterogennych chorób o zróżnicowanym pochodzeniu, w tym choroby wrodzone (między innymi dystrofie, miopatie mitochondrialne, miopatie towarzyszące chorobom spichrzeniowym) jak również miopatie nabyte, w tym toksyczne i polekowe.*

*Grupa miopatii wrodzonych (G71.2) (miopatia nemalinowa, „multicore”, centronuklearna) jest grupą chorób dla których nie ma specyficznego leczenia farmakologicznego. Postępowanie obejmuje terapię wspomagającą planowaną przez zespół wielodyscyplinarny obejmującą także zastosowanie glikokortykosteroidów, jednakże brak jest dowodów na efektywność takiego postępowania w tym wskazaniu (Nagai, 2015).*

*Rekomendacje odnoszące się do miopatii wrodzonych ICSCCMD 2010, ICSCCM 2012, które dotyczyły głównie interwencji nefarmakologicznych i nie zawierały informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów.*

*Poza grupą miopatii wrodzonych, do grupy pierwotnych zaburzeń mięśniowych (G71) zalicza się inne choroby wrodzone z zaburzeniami mięśniowymi w tym dystrofie mięśniowe czy miopatie mitochondrialne.*



Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi prednizon jest rekomendowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera (SEN 2019, DMDCCWG 2018, NDDBAN 2017, AAN 2016) i młodzieńczym zapaleniu skórno-mięśniowym (Żuber 2019). W przypadku dystrofii twarzowo-łopatkowo-ramieniowej (AAN 2015) uznano, że dane są niewystarczające, aby potwierdzić pozytywny wpływ prednizonu na siłę mięśni. W rekomendacjach wskazuje się na lepszą kontrolę objawów choroby oraz poprawę siły mięśni szkieletowych (dystrofia mięśniowa Duchenne'a).

Zdaniem eksperta w części chorób zaliczanych do miopatii, w szczególności w dystrofiach mięśniowych stosowanie glikokortykosteroidów znajduje uzasadnienie.

Podsumowując, biorąc pod uwagę całość dostępnych danych, wytyczne kliniczne oraz stanowisko eksperta klinicznego Rada uznaje finansowanie prednizonu we wnioskowanym wskazaniu za zasadne.

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego raport nr: OT.4320.12.2020 „Prednisonum we wskazaniu: miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia”. Data ukończenia: 4 czerwca 2020 r.