



Rekomendacja nr 40/2023

z dnia 24 kwietnia 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu lecniczego Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna. na podstawie art. 39 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna w przypadku nietolerancji pirydostygminy.

Uzasadnienie rekomendacji

Zgodnie z komunikatem Ministra Zdrowia w sprawie dostępności produktu leczniczego Mytelase, podmiot odpowiedzialny zaprzestał wprowadzania go do obrotu na terytorium Polski, nie posiada on także odpowiedników dopuszczonych do obrotu w Polsce. Konsultant Krajowy w dziedzinie neurologii, wskazał na możliwość zastosowania produktu Mestinon (pyridostigmini bromidum; refundacja apteczna) jako alternatywnej metody leczenia we wskazaniu rejestracyjnym, w odniesieniu do produktu leczniczego Mytelase.

W ramach przeglądu realizowanego w ramach analizy klinicznej odnaleziono dwie prace opisujące serie przypadków leczenia chlorkiem ambenonium pacjentów z miastenią, tj. Schwab 1955 i Westerberg 1955. W publikacjach tych autorzy wskazują na skuteczność chlorku ambenonium [jest nieco silniejszy i działa około dwa razy dłużej niż neostygmina lub Mestinon i ma mniej skutków ubocznych dotyczących przewodu pokarmowego (Schwab 1955); siła i czas działania są większe niż pirydostygminy lub neostygminy, natomiast toksyczne działanie (obejmujące nadaktywność przywspółczulną, i pobudzenie ośrodkowego układu nerwowego) jest mniejsze niż neostygminy i większe niż pirydostygminy (Westerberg 1955)]. Ponadto w odnalezionym przeglądzie Cochrane Mehndiratta 2014 stwierdza się, że z wyjątkiem jednego małego i niejednoznacznego badania dotyczącego neostygminy podawanej donosowo, nie

przeprowadzono żadnych innych randomizowanych kontrolowanych badań w miastении w zakresie stosowania inhibitorów acetylocholinesterazy (AChEI). Autorzy podkreślili jednak, że odpowiedź na AChEI w badaniach obserwacyjnych jest tak wyraźna, że trudno byłoby uzasadnić randomizowane, kontrolowane badanie, które pozbawiłoby uczestników grupy placebo leczenia.

Oszacowano wpływ na budżet płatnika publicznego, z którego wynika, że roczny koszt stosowania Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, u jednego pacjenta wynosi niecałe 635 PLN, natomiast roczny koszt leczenia szacowanej populacji (570 pacjentów; oszacowany na podstawie informacji przekazanej przez eksperta) to ok. 361,9 tys. PLN.

Odnaleziono 5 wytycznych praktyki klinicznej [Sander 2016; EFNS/ENS 2014; EFNS 2010; GNS 2016; ABN 2015] oraz 2 publikacje wydane przez towarzystwa naukowe (NORD 2022 i UpToDate 2022). Do analizowanej interwencji odniesiono się jedynie w GNS 2016. Wskazano, że chlorek ambenonium podawany doustnie może być stosowany zamiast doustnego bromku pirydostygminy w przypadku nietolerancji bromku związanej z działaniami niepożądanymi ze strony przewodu pokarmowego.

Odnaleziono także 4 dokumenty refundacyjne: HAS (z lat 2016, 2011 i 2006) i TLV (TLV 2020). HAS wskazuje na znaczną korzyść ze stosowania tego produktu leczniczego. TLV pozytywnie oceniło wniosek o podwyższenie ceny leku uzasadniając, że Mytelase jest ważną opcją terapeutyczną w leczeniu miastении.

Mając na względzie stanowisko Rady Przejrzystości, wytyczne kliniczne, a także wyniki przeprowadzonych analiz, Prezes Agencji rekomenduje jak we wstępie.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastения ciężka rzekomoporaźna, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2555, ze zm.).

Problem zdrowotny

Miastения (ang. myasthenia gravis, łac. myasthenia gravis pseudoparalytica, MG), jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowo-mięśniowego – receptorowi acetylocholin (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni (ang. muscle, skeletal, receptor tyrosine kinase – MuSK). Choroba może przebiegać z samoistnymi rzutami i remisjami; może wystąpić przełom miastениczny, a w czasie leczenia inhibitorami cholinoesterazy (ChE) – przełom cholinergiczny. Przełom miastениczny (najczęściej występuje ~20% chorych z uogólnioną miastением) to szybkie i ciężkie zaostrenie objawów miastении z objawami niewydolności oddechowej. Przełom cholinergiczny występuje u chorych z nasilonymi objawami miastении, którzy zwiększają dawkę inhibitora ChE.

Pierwsze objawy MG najczęściej dotyczą mięśni gałek ocznych – występuje podwójne widzenie, opadanie powiek, zaburzenia ruchów gałek ocznych. Zajęcie mięśni opuszkowych powoduje cichą mowę, pojawiają się trudności w gryzieniu i połykaniu. Występują trudności w unoszeniu kończyn górnych, chodzeniu po schodach, podnoszeniu się z pozycji leżącej bez pomocy rąk, wstawaniu z pozycji kucznej. Bardzo

charakterystyczne jest pogarszanie się objawów w miarę wysiłku fizycznego (apokamnoza) oraz stresu i nasilanie się w ciągu dnia (wyraźniejsze są wieczorem niż rano).

Częstość występowania wynosi 50-125/mln, roczna zapadalność – 2-4/mln. Występują 2 szczyty zachorowań: do 40. r.ż. (2-3 razy częściej chorują kobiety) i po 60. r.ż. (częściej chorują mężczyźni).

Najlepiej rokują przypadki miastenii ocznej. U ~15% chorych występuje samoistna remisja. Przyczyny zgonów to niewydolność oddechowa w przebiegu przełomu miastenicznego lub cholinergicznego oraz powikłania leczenia glikokortykosteroidami (GKS) lub immunosupresyjnego.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra zdrowia z dnia 20 lutego 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, aktualnie we wskazaniu miastenia refundowane są następujące leki:

- na receptę: Pyridostigmini bromidum (produkt leczniczy Mestinon, tabletki drażowane, 60 mg), Prednisonum (produkt leczniczy Encorton, tabletki, 1, 5, 10, 20 mg.), Tacrolimusum (produkt leczniczy: Advagraf, kaps. o przedłużonym uwalnianiu, twarde, 0,5, 1, 3, 5 mg; Dailiport, kaps. o przedł. uwalnianiu twarde, 0,5, 1, 2, 3, 5 mg; Envarsus, tabl. o przedł. uwalnianiu, 0,75, 1, 4 mg; Prograf, kaps. twarde, 0,5, 1, 5 mg.);
- w programie lekowym B.67 „Leczenie immunoglobulinami chorób neurologicznych (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, M33.0, M33.1, M33.2): Immunoglobulinum humanum (produkt leczniczy: Flebogamma DIF, roztwór do infuzji, 50 mg/ml; Hizentra, roztwór do wstrzykiwań, 0,2 g/ml; Privigen, roztwór do infuzji, 100 mg/ml), Immunoglobulinum humanum normale (produkt leczniczy: Kiovig, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, Privigen, roztwór do infuzji, 100 mg/ml), Immunoglobulinum humanum normale ad usum intravenosum (Ig VENA, roztwór do infuzji, 50 g/l).

Podkreślenia wymaga, że jedynym refundowanym inhibitorem acetylocholinoestazy (AChEI) w ocenianym wskazaniu jest bromek pirydostygminy (Mestinon).

Mając powyższe na uwadze, a także opinie ekspertów oraz zalecenia zawarte w odnalezionych wytycznych klinicznych, jako opcje alternatywne dla wnioskowanej technologii przyjęto bromek pirydostygminy (Mestinon) oraz z uwagi na wytyczne GNS 2016 (chlorek ambenonium podawany doustnie może być stosowany zamiast doustnego bromku pirydostygminy) dodatkowo za terapie opcjonalne w ocenianym wskazaniu uznano także inne zarejestrowane w Polsce inhibitory AChEI.

Opis wnioskowanego świadczenia

Chlorek ambenonium jest parasympatykomimetykiem o silnym działaniu hamującym enzym acetylocholinoesterazę, co powoduje zwiększenie stężenia acetylocholino w zakończeniach nerwowych, zarówno muskarynowych i nikotynowych. Następstwem działania leku jest zwiększenie przewodnictwa nerwowo-mięśniowego i skurcz mięśni. Ambenonium zwiększa kurczliwość mięśni szkieletowych.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) Mytelase jest wskazany do stosowania w leczeniu objawowym miastenii. Wskazanie rejestracyjne nie precyzuje linii leczenia pacjentów z MG, u których lek powinien być stosowany. Wnioskowane wskazanie tj. miastenia ciężka rzekomoporaźna zatem zawiera się we wskazaniu rejestracyjnym.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia do analizy, niemniej w ramach przeglądu odnaleziono dwie prace przedstawiające wyniki przeglądów systematycznych Mehndiratta 2014 [dot. oceny leczenia AChEI miastenii] i Benatar 2012 [dot. oceny technologii medycznych i interwencji chirurgicznej w leczeniu miastenii ocznej]. Jednak w publikacjach tych nie odniesiono się / nie przedstawiono wyników dla ocenianej technologii medycznej. Dodatkowo odnaleziono dwie prace opisujące serie przypadków dot. leczenia chlorkiem ambenonium pacjentów z miastenią tj. Schwab 1955 [opis serii przypadków (50 pacjentów) i szczegółowy opis 4 przypadków (z 50) z miastenią leczonych chlorkiem ambenonium] oraz Westerberg 1955 [opis serii przypadków (30 pacjentów) i szczegółowy opis 13 pacjentów, którzy czuli się lepiej podczas terapii ambenonium niż podczas innej terapii oraz opis 12 pacjentów, którzy zgłosili niekorzystne efekty leczenia chlorkiem ambenonium].

Skuteczność i bezpieczeństwo

- Schwab 1955 - autorzy badania stwierdzili, że chlorek ambenonium jest nieco silniejszy i działa około dwa razy dłużej niż neostygmina lub Mestinon i ma mniej skutków ubocznych dotyczących przewodu pokarmowego;
- Westerberg 1955 - w ocenie autorów chlorek ambenonu jest skuteczny w leczeniu miastenii. Jego siła i czas działania są większe niż w przypadku pirydostygminy lub neostygminy. Toksyczne działanie ambenonu, które jest mniejsze niż neostygminy i większe niż pirydostygminy, obejmuje zarówno nadaktywność przywspółczulną, jak i pobudzenie ośrodkowego układu nerwowego.
- Mehndiratta 2014 - stwierdza, że z wyjątkiem jednego małego i niejednoznacznego badania dotyczącego neostygminy podawanej donosowo, nie przeprowadzono żadnych innych randomizowanych kontrolowanych badań dotyczących stosowania AChEI w miastenii. Odpowiedź na AChEI w badaniach obserwacyjnych jest jednak tak wyraźna, że trudno byłoby uzasadnić randomizowane, kontrolowane badanie, które pozbawiłoby uczestników grupy placebo leczenia.

Dodatkowe informacje o bezpieczeństwie - na podstawie ChPL

Działania niepożądane wynikające z muskarynowego działania chlorku ambenonium to: skurcze jelitowe, nudności, wymioty, biegunka, nadmierne wydzielanie śliny, zwiększone wydzielanie śluzu w drogach oddechowych, łzawienie, zwężenie źrenic.

Działania niepożądane wynikające z nikotynowego działania chlorku ambenonium to: skurcze mięśniowe, drżenia mięśni szkieletowych. Bardzo rzadko może wystąpić ogólne złe samopoczucie z lękiem i zawrotami głowy.

Zaburzenia serca: bradykardia, zaburzenia przewodnictwa w sercu.

Informacje na podstawie komunikatów dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktu leczniczego Mytelase na stronach internetowych Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL), Amerykańskiej Agencji Żywności i Leków (FDA, ang. Food and Drug Administration) i Europejskiej Agencji Leków (European Medicines Agency, EMA), w bazie WHO Uppsala Monitoring Centre (VigiAccess).

Na stronie URPL, EMA oraz WHO nie odnaleziono komunikatów dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktu leczniczego Mytelase.

FDA opublikowało 2 komunikaty o treści aktualnej do dnia 02.09.2023 r. nt. rankingu uszkodzeń wątroby wywołanych lekami oraz zbioru danych dotyczących ciężkości i toksyczności uszkodzeń wątroby wywołanych lekami. Treść komunikatów jednoznacznie wskazuje, że chlorek ambenonium nie powoduje polekowego uszkodzenia wątroby (ang. drug-induced liver injury, DILI).

VigiAccess – w bazie odnotowano łącznie 109 zgłoszeń, z tego najwięcej w kategoriach: zaburzenia układu nerwowego (37), zaburzenia żołądkowo-jelitowe (35) oraz zaburzenia ogólne i reakcje w miejscu podania (25).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 175 926 zł (3 x 58 642 zł)

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Zgodnie z informacjami zawartymi w rozpatrywanym zleceniu MZ szacunkowa cena jednostkowa za opakowanie 50 tabletek produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, wynosi: 39,68 PLN. Wskazano także, że w 2022 r. pozytywnie rozpatrzono zgody na refundację Mytelase, tabletki 10 mg, dla 8 pacjentów (liczba unikalnych numerów PESEL), którym zrefundowano 181 opakowań za kwotę 7 182,08 PLN.

Ponadto w zleceniu wyszczególniono dane dla Mestinon retard tabletki 180 mg i Mestinon syrop 60 mg/5ml, których nie dotyczy przedmiotowa ocena.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Na podstawie danych udostępnionych przez MZ określono koszt, jaki ponosiłby płatnik publiczny za finansowanie produktu Mytelase, dla pacjentów z miastenią ciężką rzekomoporaźną. Przyjęte założenia do analizy:

- dawkowanie chlorku ambenonium: roczne zużycie 8 000 mg.; średnia dzienna dawka ok. 22 mg. (oszacowanie na podstawie danych dotyczących wielkości refundacji chlorku ambenonium z ostatniego roku, w którym wnioskowana technologia medyczna była finansowana ze środków publicznych, tj. 2021 r.);
- liczebność populacji: 570 w I roku; 595 w II roku (szacunek na podstawie informacji przekazanej przez ekspertów);
- cena leku: zlecenie MZ.

Koszt rocznej terapii Mytelase dla jednego pacjenta wynosi 634,88 PLN. Przy ww. założeniach dotyczących liczebności pacjentów w pierwszych dwóch latach analizy, koszt dla płatnika publicznego finansowania przedmiotowej terapii może wynieść 361,9 tys. PLN w I roku i 377,8 tys. PLN w II roku.

Ograniczenia analizy

Ograniczeniem analizy wpływu finansowania przedmiotowej technologii na wydatki płatnika publicznego jest przede wszystkim niepewność w zakresie: wielkości populacji docelowej (oparta o dane przekazane przez ekspertów), a także wielkości dziennej dawki (szacunki na podstawie danych z refundacji za 2021 r.).

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana, jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 5 wytycznych praktyki klinicznej [międzynarodowe (Sander 2016), europejskie (European Federation of Neurological Societies/European Neurological Society EFNS/ENS 2014; EFNS 2010), niemieckie (German Neurological Society; GNS 2016), brytyjskie (Association of British Neurologists; ABN 2015)] oraz 2 publikacje wydane przez towarzystwa naukowe (National Organization for Rare Disorders, NORD 2022 i UpToDate 2022).

Do analizowanej interwencji odniesiono się jedynie w wytycznych GNS 2016, gdzie podano, że chlorek ambenonium podawany doustnie może być stosowany zamiast doustnego bromku pirydostygminy w przypadku nietolerancji bromku związanej z działaniami niepożądanymi ze strony przewodu pokarmowego.

We wszystkich pracach zaleca się stosowanie, jako początkowego leczenia inhibitorów cholinoesterazy (AChEI). W pierwszej linii leczenia wskazuje się najczęściej na zastosowanie pirydostygminy (jako zalecany lek pierwszego rzutu lub wskazywany jako najczęściej stosowany AChEI). EFNS ENS 2014 i UpToDate 2022 wskazuje także na możliwość stosowania neostygminy. Dodatkowo w pracach EFNS ENS 2014, GNS 2016, ABN 2015 i UpToDate 2022 podkreślono, że brak jest dowodów najwyższej jakości dot. zastosowania AChEI w leczeniu miastonii.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 4 dokumenty dotyczące stosowania Mytelase w leczeniu miastonii: Haute Autorité de Santé (HAS z lat 2016, 2011 i 2006; Francja) i TLV (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket; TLV 2020; Szwecja).

W rekomendacjach HAS wskazuje się, że rzeczywista korzyść ze stosowania tego produktu leczniczego pozostaje znaczna. W TLV pozytywnie oceniono wniosek o podwyższenie ceny leku wskazując, że Mytelase jest ważną opcją terapeutyczną w leczeniu miastonii.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z 24.01.2023 r. (znak pisma: PLD.45340.3595.2022.2.AD), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Mytelase, ambenonii chloridum, tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2555, ze zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 40/2023 z dnia 3 kwietnia 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 40/2023 z dnia 3 kwietnia 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna;
2. Raport nr z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.1.2023 „Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna”; data ukończenia 30 marca 2023 r.