



**Stanowisko Rady Przejrzystości**  
**nr 74/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku**  
**w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu**  
**lecniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Zarówno Rada Przejrzystości jak i Prezes Agencji uznali za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (deflazakort), tabletki 6 mg i 30 mg, we wskazaniu zespół nerczycowy w 2013 roku oraz 2020 roku. Obecne stanowisko Rady Przejrzystości oparte jest o zaktualizowane dane w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej, oraz nowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej.*

*Zespół nerczycowy (ZN) powstaje w wyniku utraty białka, przede wszystkim albuminy z moczem w ilości przekraczającej możliwości kompensacyjne ustroju. Zwiększone wydalanie białka z moczem spowodowane jest wzmożoną przepuszczalnością błony filtracyjnej kłębuszków nerkowych w wyniku działania różnych czynników patologicznych lub wady ich mikrostruktury. U małych dzieci choroba przyjmuje postać idiopatycznego zespołu nerczycowego wieku dziecięcego, który przebiega z charakterystycznymi objawami klinicznymi i zmianami laboratoryjnymi, ale jego przyczyna nie została wyjaśniona.*

*Dowody naukowe*

*Wszystkie rekomendacje (międzynarodowe wytyczne kliniczne KDIGO 2021, IPNA 2022, polskie PTFND 2022) zalecają leczenie dzieci doustnym prednizonem/prednizolonem, zarówno w pierwotnym jak i nawracającym zespole nerczycowym. W leczeniu pierwszej linii zaleca się stosowanie prednizonu przez 4 tygodnie. Autorzy wytycznych IPNA wskazali, że obecnie nie ma wystarczających danych, aby zalecić stosowanie deflazakortu zamiast prednizonu w leczeniu zespołu nerczycowego. Aktualne rekomendacje są spójne z zaleceniami przedstawionymi w poprzednim opracowaniu Agencji - włoskimi*

SINePe z 2017 r. oraz polskimi PTNFD z 2015 r., które również zalecały stosowanie prednizonu lub prednizolonu w leczeniu zespołu nerczycowego u dzieci.

Istnieją jedynie nieliczne dowody kliniczne, pochodzące z badań przeprowadzonych na niewielkich grupach pacjentów. Odnaleziono jedno badanie w ostatnich latach, dotyczące terapii kortykosteroidami zespołu nerczycowego u dzieci - przegląd systematyczny Hahn 2020, dotyczący głównie stosowania deflazakortu. Obejmował on 4 badania RCT dotyczące leczenia zespołu nerczycowego deflazakortem u łącznie 118 pacjentów. Autorzy przeglądu uznali, że deflazakort w porównaniu z prednizonem może mieć niewielki wpływ lub go nie mieć na liczbę pacjentów, u których wystąpiła remisja choroby (RR 1,08, 95% CI 0,94 do 1,24; 67 uczestników, 2 badania; I2 = 0%). W badaniu "crossover study" włączonym do przeglądu (Liern 2008) nie stwierdzono różnic w czasie do wystąpienia remisji lub do nawrotu choroby u 11 dzieci leczonych deflazakortem lub metyloprednizolonem. Podobnie Konsultant Krajowy w dziedzinie nefrologii dziecięcej prof. Danuta Zwolińska powołuje się na dane z tego przeglądu, uznając że nie ma pewnych dowodów na wyższość deflazakortu nad prednizonem czy prednizolonem. W opinii ekspertów leku nie stosuje się w Polsce u dorosłych w leczeniu zespołu nerczycowego, ponieważ wystarczające są dostępne preparaty glikokortykosteroidów.

#### Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena netto sprzedaży produktu leczniczego Calcort do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 119,90 zł za opakowanie 6 mg, 100 tabletek. W 2022 r. wydano zgody na refundację 10 opakowań po 100 tabletek produktu leczniczego Calcort, tabletki 6 mg, dla jednego pacjenta. Ze względu na to, że Calcort jest stosowany w różnym dawkowaniu i przez różny okres nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu rocznej terapii. Oszacowany koszt za dzienną dawkę leku przypadającą na 1 kg masy ciała wynosi 0,52 zł dla produktu leczniczego Calcort, 6 mg, 0,15 zł dla refundowanych produktów leczniczych zawierających prednizon i 0,18 zł dla refundowanych produktów leczniczych zawierających prednizolon. Przykładowo dla dawki maksymalnej stosowanej w przypadku 12 tygodniowego leczenia pierwszego rzutu populacji pediatrycznej zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej KDIGO 2021 – 6 tygodni przy pełnej dawce, a następnie 6 tygodni dawkowania co drugi dzień. Oszacowany koszt wynosi 936,73 zł.

#### Główne argumenty decyzji

1. Brak dowodów naukowych uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych glikokortykosteroidów (prednizon, prednizolon) u chorych z zespołem nerczycowym.
2. Brak wytycznych towarzystw naukowych międzynarodowych i polskich uzasadniających stosowanie Calcortu (deflazakortu) zamiast innych

*glikokortykosteroidów (prednizon, prednizolon) u chorych z zespołem nerczycowym.*

**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 2022 r., poz. 2561 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 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.7.2023 „Calcort (deflazakort) we wskazaniu: zespół nerczycowy”; data ukończenia: 29 czerwca 2023 r.