



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 149/2023 z dnia 18 grudnia 2023 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku  
Orap (pimozyd) we wskazaniach: przewlekłe tiki ruchowe  
lub głosowe (wokalne), zespół tików głosowych i ruchowych  
(zespół Gilles de la Tourette), zespół Leigha

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Orap (pimozyd) we wskazaniach: przewlekłe tiki ruchowe lub głosowe (wokalne), zespół tików głosowych i ruchowych (zespół Gilles de la Tourette) i niezasadne w zespole Leigha.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Zespół Gillesa de la Tourette`a (ang. Gilles de la Tourett syndrome, GTS) jest chorobą rzadką, która charakteryzuje się obecnością mnogich tików ruchowych i pojedynczych lub mnogich tików wokalnych, niekoniecznie współistniejących, występujących dłużej niż 1 rok.*

*Zespół Leigha (podostra martwiejąca encefalopatia) jest również rzadką chorobą neurometaboliczną, która prowadzi do degeneracji ośrodkowego układu nerwowego i w konsekwencji wczesnej śmierci.*

Dowody naukowe

*Pimozyd jest neuroleptykiem pierwszej generacji tradycyjnie stosowanym w zespole tików. W przeglądzie systematycznym z metaanalizą wykazano, że pimozyd zmniejsza nasilenie tików w porównaniu do placebo: SMD 0,66 (95% CI: 0,06; 1,25), różnica ta była statystycznie istotna (niska pewność dowodów). Natomiast, nie ma dowodów na jego przewagę nad haloperydolem czy rysperydonem.*

*Wytyczne wskazują na zasadność stosowania leków przeciwpsychotycznych (w tym również pimozydu),, jako opcje leczenia zaburzeń tikowych. Pimozyd i haloperydol (typowe leki przeciwpsychotyczne) wymieniane są jako terapie dalszych linii, w przypadku pacjentów z nasilonymi objawami lub w przypadku choroby odporne.*

*Wytyczne nie wspominają o stosowaniu pimozydu w zespole Leigha.*

*W opinii Eksperta profil bezpieczeństwa pimozydu jest lepszy niż haloperydolu. W przypadku zespołu Leigha ekspert wskazał, że stosowanie pimozydu jest hipotetyczne i mógłby on stanowić terapię bezpieczniejszą niż haloperydol.*

*Problem ekonomiczny*

*W okresie styczeń 2022 – sierpień 2023 sprowadzono łącznie 350 opakowań (84 opak. – 1 mg; 266 opak.– 4 mg) na łączną kwotę wynoszącą 9 273,88 zł.*

*Główne argumenty decyzji:*

*W zespole tików:*

- *zagwarantowanie leku w chorobach rzadkich;*
- *interwencja umiarkowanie skuteczna;*
- *mały wpływ na budżet płatnika.*

*W zespole Leigha brak danych naukowych i wytycznych.*

**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 2023 r., poz. 2555 z poz. 826), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.21.2023 „Orap (pimozyd) we wskazaniach: przewlekłe tiki ruchowe lub głosowe (wokalne), zespół tików głosowych i ruchowych (zespół Giles de la Tourette), zespół Leigha”; data ukończenia raportu 14 grudnia 2023 r.