



## Rekomendacja nr 163/2024

z dnia 30 grudnia 2024 r.

### Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a w populacji pacjentów pediatrycznych

**Prezes Agencji rekomenduje** wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (deflazakort) we wskazaniu dystrofia mięśniowa Duchenne'a.

#### Uzasadnienie rekomendacji

Produkt leczniczy Dezacor (deflazakort) w tożsamym wskazaniu tj.: dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD) w populacji pediatrycznej były przedmiotem oceny Agencji w 2021 r. i uzyskał pozytywną rekomendację Prezesa nr 106/2021. W rekomendacji wskazywano m.in.: na istotność stanu klinicznego oraz możliwość zaspokojenia potrzeb zdrowotnych pacjentów.

Z wytycznych klinicznych wynika, że złoty standard farmakoterapii DMD stanowią glikokortykosteroidy (prednizon, prednizolon, deflazakort), a leczenie DMD koncentruje się na zmniejszaniu objawów choroby. Farmakoterapia glikokortykosteroidami w ocenianym wskazaniu nie jest ujęta na obwieszczeniu Ministra Zdrowia, natomiast część pacjentów z DMD (z mutacją nonsensowną) leczona jest atalurenem w ramach programu lekowego B.130.

Przeprowadzono aktualizację wyszukiwania w zakresie istnienia nowych dowodów naukowych oraz wytycznych klinicznych zgodnie z analizowanym problemem decyzyjnym względem poprzedniej rekomendacji.

W ramach aktualizacji przeglądu dowodów naukowych zidentyfikowano dwa randomizowane badania kliniczne (Guglieri 2022, Reddy 2022) oraz trzy metaanalizy wyników badań pierwotnych (Shieh 2021, McDonald 2023, Landfeldt 2024a) i jeden przegląd systematyczny (Landfeldt 2024b). Wyniki badania Guglieri 2022 wskazują na porównywalną skuteczność deflazakortu i prednizonu stosowanych codziennie dla zbiorczego punktu końcowego (obejmował: prędkość podnoszenia się z pozycji leżącej; wymuszoną pojemność życiową (FVC); ogólne zadowolenie uczestnika lub rodzica z leczenia). Wyniki metaanaliz natomiast sugerują, że pacjenci leczeni deflazakortem w porównaniu z leczonymi prednizonem doświadczali istotnie wolniejszego pogarszania się parametrów oceniających ich zdolności motoryczne (dystans przebyty w trakcie 6 minut, czas wchodzenia/schodzenia na 4 stopnie (Shieh 2021, McDonald 2023); wynik w skali NSAA (McDonald 2023); utrata możliwości

chodzenia (Landfeldt 2024a)). W ocenie autorów przeglądu Lanfeldt 2024b stosowanie glikokortykoidów (deflazakort, prednizon lub prednizolon) wiąże się z poprawą frakcji wyrzutowej i niższym ryzykiem kardiomiopatii, dysfunkcji komór i śmiertelności związanej z niewydolnością serca. W analizie bezpieczeństwa uzyskane wyniki dla deflazakortu wskazują na istotnie statystyczny mniejszy przyrost masy ciała ale bardziej spowolniony wzrost pacjentów niż w przypadku prednizonu stosowanego codziennie (Guglieri 2022). Wymienione powyżej badania charakteryzują się w większości krótkimi okresami obserwacji, szerszą niż oceniana populacją pacjentów, a także brakiem danym w zakresie jakości życia czy przeżycia całokoiwtego, co stanowi ograniczenie wnioskowania.

Zgodnie z oszacowaniami wpływu na budżet średni roczny koszt terapii jednego pacjenta wynosi 1 191,90 zł., natomiast roczny koszt terapii populacji wskazanej w zleceniu MZ (22 pacjentów) to 26 221,82 zł. Należy podkreślić, że powyższe obliczenia mają jedynie wartość poglądową z uwagi przede wszystkim na niepewność w zakresie liczebności populacji i schematu dawkowania.

Biorąc pod uwagę powyższe, a także Stanowisko Rady Przejrzystości Prezes Agencji podtrzymuje wnioskowanie dotyczące zasadności refundacji ocenianego produktu leczniczego w ramach importu docelowego i rekomenduje jak w sentencji.

### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a, 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 2024 r., poz. 930, z późn. zm.).

### **Problem zdrowotny**

Dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a (DMD) jest chorobą genetyczną spowodowaną mutacją genu kodującego dystrofinę, czyli białka niezbędnego do prawidłowej czynności włókna mięśniowego. Ze względu na dziedziczenie w sposób recesywny sprzężony z chromosomem X, DMD występuje głównie u chłopców. DMD objawia się opóźnionym rozwojem ruchowym we wczesnym dzieciństwie (2.-5. r.ż.) i prowadzi do obniżenia sprawności fizycznej, aż do utraty możliwości samodzielnego poruszania się (około 10 r.ż.). Ponadto w przebiegu DMD obserwuje się m.in. upośledzenie rozwoju umysłowego (ok. 50% przypadków), wczesną osteoporozę, problemy kardiologiczne (niewydolność serca) oraz oddechowe (wymagana nieinwazyjna wentylacja, która z czasem może stać się inwazyjna).

Większość chorych na DMD umiera około 20 roku życia. Najczęstszą przyczyną zgonu jest niewydolność oddechowa (ok. 40%), a następnie niewydolność serca, wtórna do postępującej kardiomiopatii (10-40%). Częstość występowania dystrofii mięśniowej typu Duchenne'a wynosi ok. 1/3500-6000 chłopców.

Według danych NFZ w 2023 r. liczba pacjentów (unikalne numery PESEL) z rozpoznaniem ICD-10 G71.0 wynosiła 3 425 osób (dorośli i dzieci). Ponadto warto dodać, że w ramach programu lekowego B.130 „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a spowodowaną mutacją nonsensowną w genie dystrofiny (ICD-10: G71.0)” w ww. okresie leczonych było 23 pacjentów (kryterium włączenia do programu lekowego B.130 stanowi obecność mutacji nonsensownej w genie dystrofiny, a więc może z niego skorzystać jedynie 10-15% populacji z DMD).

### **Alternatywna technologia medyczna**

Wytyczne w leczeniu dystrofii mięśniowej typu Duchenne'a wskazują na możliwość zastosowania glikokortykosteroidów (prednizon, prednizolon, deflazakort).

W obwieszczeniu Ministra Zdrowia z dnia 18.12.2024 roku w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2025 r. w ramach:

- refundacji aptecznej brak jest produktów, dla których we wskazaniu refundacyjnym zapisano dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a;
- programu lekowego B.130 „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a spowodowaną mutacją nonsensowną w genie dystrofiny (ICD-10: G71.0)” finansowany jest ataluren (produkt leczniczy Translarna).

W wyniku oceny zasadności wydawania zgód na refundację w tym wskazaniu Prezes Agencji w 2024 r. wydał pozytywną rekomendację dla leku Calcort (deflazakort), również Rada Przejrzystości pozytywnie wypowiedziała się w przedmiotowym zakresie.

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

Deflazakort, substancja czynna leku Calcort, jest pochodną prednizolonu. Wykazuje działanie przeciwzapalne i immunosupresyjne.

Zakres wskazań rejestracyjnych leku Calcort nie obejmuje DMD, a zatem wnioskowane wskazanie należy traktować jako wskazanie pozarejestracyjne (ang. off-label use).

### **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 przeprowadzonego wyszukiwania dowodów naukowych stanowiącego aktualizację względem poprzedniej rekomendacji tj. nr 106/2021 odnaleziono i włączono do analizy:

- Guglieri 2022 – randomizowane badanie kliniczne podwójnie zaślepienie, prowadzone w trybie grup równoległych, którego celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa trzech najczęściej stosowanych schematów terapii glikokortykosteroidami u chłopców (wiek 4-7 lat) z dystrofią Duchenne’a<sup>1</sup>. Łączna liczba pacjentów N=196 (w tym: codziennie prednizon n=65; codziennie deflazakort n=65; przerywany prednizon n=66). Okres obserwacji 3 lata w zakresie oceny skuteczności; 36 tygodni dla oceny bezpieczeństwa;
- Reddy 2022 – randomizowane badanie kliniczne mające na celu ocenę, czy deflazakort w niższej dawce (0,45 mg/kg/dobę) jest nie gorszy niż deflazakort w dawce standardowej (0,9 mg/kg/ dobę) z zakresie skuteczności i bezpieczeństwa u pacjentów<sup>2</sup> z dystrofią mięśniową Duchenne’a. Liczba pacjentów N=97. Okres obserwacji 24 tygodnie. Z uwagi na fakt, że badanie dotyczy jedynie

<sup>1</sup> wiek 4-7 lat nieleczeni wcześniej glikokortykosteroidem.

<sup>2</sup> wiek ≥ 5 lat nowo zdiagnozowani.

porównywania deflazakortu w różnych dawkach wyniki w zakresie skuteczności nie zostały ujęte w niniejszej rekomendacji natomiast są dostępne w raporcie analitycznym;

- Shieh 2021 – metaanaliza mająca na celu porównanie skuteczności deflazakortu i prednizonu/prednizolonu w zapewnianiu klinicznie istotnych opóźnień w utracie kamieni milowych w rozwoju fizycznym u pacjentów pediatrycznych z dystrofią mięśniową Duchenne’a z mutacją nonsensowną. Populacja deflazakort n=70, prednizon / prednizolon n=84. Okres obserwacji: 48 tygodni;
- McDonald 2023 – metaanaliza mająca na celu ocenę stosowania kortykosteroidów w zależności od wieku i progresji choroby u pacjentów pediatrycznych z DMD. Populacja: deflazakort: N=127, prednizon: N=104. Okres obserwacji: 48 tygodni;
- Landfeldt 2024a – przegląd systematyczny z metaanalizą (włączono 45 badań) mający na celu opisanie czynników predykcyjnych utraty zdolności chodzenia w dystrofii mięśniowej Duchenne’a<sup>3</sup>. W badaniu porównywano deflazakort/prednizon/prednizolon vs brak leczenia;
- Landfeldt 2024b – przegląd systematyczny (włączono 33 badania obejmujące 9 232 pacjentów) mający na celu opisanie czynników predykcyjnych choroby serca w dystrofii mięśniowej Duchenne’a w populacji pacjentów pediatrycznych i dorosłych.

Wcześniej ocenę produktu leczniczego Dezacor (deflazakort) przeprowadzono w 2021 r. w oparciu o przegląd systematyczny badań RCT z metaanalizą Matthews 2016 oraz metaanalizę badań RCT bez przeglądu systematycznego McDonald 2020. Szczegóły w rekomendacji nr 106/2021 oraz w raporcie analitycznym.

#### *Skuteczność*

#### Guglieri 2022 (deflazakort vs prednizon (stosowane codziennie); deflazakort codziennie vs prednizon przerywany; RCT)

Wyniki badania dla złożonego punktu końcowego<sup>4</sup> wykazują w przypadku porównania: deflazakort vs prednizon (stosowane codziennie) brak istotnych statystycznie różnic, natomiast dla deflazakort codziennie vs prednizon przerywany raportowano istotną statystycznie różnicę na korzyść ocenianej technologii p=0,017.

#### Shieh 2021 (deflazakort vs prednizon/prednizolon; metaanaliza)

Wyniki metaanalizy wykazały istotną statystycznie przewagę deflazakortu nad prednizonem/prednizolonem dla następujących punktów końcowych:

- test 6MWD (dystans 6-min. marszu) zmiana po 48 tyg. mierzona jako średnia różnica najmniejszych kwadratów w teście (MD) [metr]: 39,54, [95% CI: 13,80; 65,29], p=0,0026;
- test wchodzenia na 4 schody zmiana po 48 tyg. MD [sekundy]: 39,54, 95% CI: (13,80; 65,29), p=0,0026;
- test schodzenia z 4 schodów zmiana po 48 tyg. MD [sekundy]: 2,38, 95%CI (0,31; 4,46), p=0,0244.

Nie odnotowano różnic istotnych statystycznie w przypadku test chodzenia/ biegania na dystansie 10 metrów.

W ocenie autorów metaanalizy deflazakort w porównaniu z prednizonem/prednizolonem u pacjentów z dystrofią mięśniowa Duchenne'a i mutacją nonsensowną zapewnia klinicznie istotne opóźnienia w utracie kamieni milowych dotyczących rozwoju fizycznego w ciągu 48 tygodni.

<sup>3</sup> dorośli i dzieci leczeni glikokortykosteroidami

<sup>4</sup> obejmował 3 punkty końcowe: prędkość podnoszenia się z pozycji leżącej (rise from the floor velocity (i rise/seconds)), wymuszona pojemność życiowa (FVC) - maksymalna pojemność wydechowa pacjenta (orced vital capacity (in liters)), ogólne zadowolenie uczestnika lub rodzica z leczenia mierzone za pomocą kwestionariusza satysfakcji z leczenia w przypadku leków (TSQM; zakres punktacji od 0 do 100)

### McDonald 2023 (deflazakort vs prednizon)

Wyniki metaanalizy wykazały przewagę deflazakortu nad prednizonem dla następujących punktów końcowych:

- test 6MWD zmiana po 48 tyg. skorygowane średnie zmiany od wartości bazowej (adjusted mean changes from baseline) i różnica pomiędzy grupami [metr]=37,59 (95% CI 19,29; 55,88),  $p<0,01$ . W publikacji wskazano, że różnica była istotna klinicznie;
- punktacja w skali NSAA: całkowity wynik NSAA<sup>5</sup>: -1,99 deflazakort vs -3,55 prednizon; różnica między grupami: 1,56,  $p<0,05$ ; zlinearyzowany wynik NSAA: -3,70 deflazakort vs -8,20 prednizon; różnica między grupami: 4,50;  $p<0,05$ ;
- test wchodzenia na 4 schody zmiana po 48 tyg. [sek.]: deflazakort: 1,38 vs prednizon: 3,28; różnica między grupami: -1,90 s (nie oceniano czy różnica była istotna statystycznie);
- test schodzenia z 4 schodów zmiana po 48 tyg. [sek.]: deflazakort: 1,38 vs prednizon: 3,28; różnica między grupami: -2,34 (nie oceniano czy różnica była istotna statystycznie).

Nie odnotowano różnic istotnych statystycznie w przypadku punktu końcowego podnoszenie się z pozycji leżącej.

W ocenie autorów metaanalizy: codziennie stosowany deflazakort przyniósł większe korzyści niż codziennie stosowany prednizon, szczególnie u pacjentów starszych i tych w bardziej zaawansowanym stadium choroby (średnia wieku (SD) pacjentów: 9,46 (1,97)).

### Landfeldt 2024a

Na podstawie wyników z przeglądu systematycznego po wykluczeniu badań z jakimkolwiek błędem systematycznym dla porównania deflazakort vs prednizon/ prednizolon w zakresie utraty możliwości chodzenia Agencja oszacowała wartość parametru HR=0,49 [95% CI: 0,34; 0,71].

W ocenie autorów przeglądu systematycznego u pacjentów leczonych glikokortykosteroidem w porównaniu do pacjentów nieleczonych występuje mniejsze ryzyko utraty chodzenia o 50%. Wyniki dla poszczególnych porównań deflazakort/prednizon/prednizolon vs brak leczenia ujęte są w raporcie analitycznym.

### Landfeldt 2024b

W ocenie autorów odnaleziono wysokiej jakości dowody na to, że glikokortykoidy (deflazakort) są istotnie związane z zachowaniem frakcji wyrzutowej lewej komory i poprawą frakcji skracania, oraz niskiej jakości dowody na to, że glikokortykoidy (deflazakort, prednizon i/lub prednizolon) są związane z poprawą frakcji wyrzutowej i niższym ryzykiem kardiomiopatii, dysfunkcji komór i śmiertelności związanej z niewydolnością serca.

### *Bezpieczeństwo*

### Guglieri 2022 (deflazakort vs prednizon (stosowane codziennie); deflazakort codziennie vs prednizon przerywany; RCT)

Istotne statystycznie różnice odnotowano w 36 tygodniu dla punktu końcowego:

- przyrost masy ciała dla porównania prednizon vs deflazakort (stosowane codziennie) 2,6 kg [98,3% CI: 0,2; 5,0],  $p=0,01$ ; deflazakort codziennie vs prednizon przerywany : -3,1 kg, [98,3% CI: -5,5; -0,7],  $p=0,002$ ;

<sup>5</sup> North Star Ambulatory Assessment, 17-elementowa skala, która ocenia wykonanie różnych umiejętności funkcjonalnych u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a w skali od 0 (niezdolny), 1 (ukończone samodzielnie, ale z modyfikacjami) i 2 (ukończone bez modyfikacji)

- spowolnienie wzrostu prednizon vs deflazakort (stosowane codziennie): 2,3 cm, 98,3%: (0,7; 3,9),  $p < 0,001$ ; deflazakort codziennie vs przerywany prednizon -8,1 cm, 98,3% CI (-9,7; -6,4),  $p < 0,001$ .

Nie odnotowano różnic istotnych statystycznie pomiędzy grupami dla punktów końcowych: zachowanie, zmiana ciśnienia krwi, zmiana wyniku echokardiografii.

Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych we wszystkich grupach należały: nieprawidłowe zachowanie, zakażenie górnych dróg oddechowych, wymioty.

#### Reddy 2022

Większość zgłaszanych zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TEAE) miała nasilenie od łagodnego do umiarkowanego i była porównywalna między dwiema grupami interwencyjnymi (deflakort w różnych dawkach) podczas obu wizyt kontrolnych. Najczęściej występujące TEAE w 24. tygodniu: nieprawidłowe zachowanie, kaszel, gorączka, przyrost masy ciała.

#### Shieh 2021 (deflazakort vs prednizon/prednizolon; metaanaliza)

W ocenie autorów metaanalizy leczenie deflazakortem i prednizonem/ prednizolonem w ciągu 48-tyg. badania było ogólnie dobrze tolerowane, a większość zdarzeń niepożądanych miała nasilenie od łagodnego do umiarkowanego.

#### *Ograniczenia*

Do najważniejszych ograniczeń wpływających na wiarygodność wnioskowania należą następujące kwestie:

- krótki okres obserwacji (24 i 48 tygodni) który uniemożliwia określenie długofalowego wpływu stosowania sterydów na pacjentów (McDonald 2023, Reddy 2022, Shieh 2021);
- dwa spośród opisanych badań poza populacją pediatryczną obejmowały również dorosłych pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a (Landfeldt 2024a, Landfeldt 2024b);
- inny cel badawczy, nie dotyczący bezpośrednio oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania glikokortykosteroidów w porównaniu z brakiem leczenia (Landfeldt 2024a, Landfeldt 2024b);
- w dwóch badaniach populację badaną stanowili pacjenci z grup placebo z badań klinicznych mających na celu ocenę innych leków (McDonald 2023, Shieh 2021);
- analizowane punkty końcowe nie dotyczą przeżycia całkowitego i jakości życia pacjentów, których ocena z uwagi na przebieg kliniczny choroby wydaje się być pożądana.

#### **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 217 641 zł (3 x 72 547 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.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, w 2023 r. w ramach importu docelowego, rozpatrzone pozytywnie 33 wniosków (22 pacjentów) na łącznie 342 opakowań produktu leczniczego Dezacor za kwotę ok. 23 433,84 zł netto.

Szacunkowa cena netto sprzedaży do apteki ocenianego leku, zawierająca marżę hurtową, wynosi 68,52 zł za 1 opakowanie (butelka 13 ml) (dane nt. ceny produktu leczniczego pochodzą z raportu z ZSMOPL).

**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 2024 r. poz. 930, z późn. zm.)**

*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 zlecenia MZ przyjęto założenia dotyczące liczebności populacji docelowej (22 pacjentów), ceny produktu leczniczego (68,52 zł netto za jedną butelkę zawierającą 13 ml.; cena dla płatnika 76,67 zł.), średniej liczby opakowań przypadającej na rok terapii jednego pacjenta (15,5 opakowania).

Uwzględniając powyższe dane, średni roczny koszt terapii jednego pacjenta ponoszony przez płatnika wynosi 1 191,90 zł., natomiast roczny koszt terapii zakładanej populacji to 26 221,82 zł.

## Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność co do wielkości populacji docelowej, schematu dawkowania deflazakortu oraz rzeczywistego kosztu leku Dezacor sprowadzanego zza granicy.

## Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

## Uwagi do 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 innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

W ramach aktualizacji względem poprzedniej rekomendacji Prezesa Agencji tj. nr 106/2021 zidentyfikowano 2 dokumenty wytycznych: brytyjskie BTS 2024 oraz międzynarodowe opracowane przez ekspertów z Peru Malaga 2024.

Odnalezione dokumenty zgodnie wskazują, iż kortykosteroidy (deflazakort oraz prednizon) są standardem postępowania od najmłodszych lat u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a.

Powyższe zalecenia są zgodne z wytycznymi ujętymi w poprzednich rekomendacjach Prezesa.

## Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 12.11.2024 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.45340.2397.2024.1.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (deflazakort), we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a w populacji pacjentów pediatrycznych; na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r. poz. 930, z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 156/2024 z dnia 23 grudnia 2024 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a

PREZES

Daniel Rutkowski

*/dokument podpisany elektronicznie/*

## Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 156/2024 z dnia 23 grudnia 2024 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a.
2. Raport nr OT.4211.40.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.26.2021) „Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a”. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację. Data ukończenia opracowania: 19 grudnia 2024 r.