



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

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*W roku 2021 wydano pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości nr 106/2021 oraz pozytywną Rekomendację Prezesa nr 106/2021 w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a - leczenie pacjentów pediatrycznych. Produkty lecznicze z deflazakortem nie są dopuszczone do obrotu w Polsce i terapia odbywa się z użyciem produktów sprowadzanych w ramach importu docelowego. Dla populacji pediatrycznej przeznaczony jest produkt leczniczy w postaci kropli doustnych (zawiesina).*

*Dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a jest najczęstszą i najcięższą chorobą nerwowo-mięśniową o dziedziczeniu sprzężonym z chromosomem X. U chorych obserwuje się obniżoną jakość życia aż do momentu utraty możliwości samodzielnego poruszania się. Większość chorych umiera około 20 roku życia.*

*W 2023 r. wydano zgodę na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Dezacor dla 22 pacjentów, zrefundowano 342 opakowania leku.*

Dowody naukowe

*Deflazakort jest syntetycznym kortykosteroidem, o potwierdzonej skuteczności w leczeniu schorzeń reumatoidalnych. W Charakterystyce Produktu Leczniczego Dezacort nie ma szczegółowego wskazania do leczenia dystrofii mięśniowej Duchenne'a.*

*Do zaktualizowanej (od 2021 roku) analizy klinicznej włączono dwa randomizowane badania kliniczne, trzy metaanalizy wyników badań pierwotnych oraz jeden przegląd systematyczny.*

*Randomizowane badanie kliniczne Guglieri 2022 potwierdziło skuteczność terapii deflazakortem chłopców w wieku 4-7 lat z dystrofią mięśniową Duchenne'a.*

W porównaniu z pacjentami otrzymującymi prednizon obserwowano mniejsze działanie niepożądane - pacjenci stosujący deflazakort mniej przybierali na wadze. Większość zgłaszanych zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem miała nasilenie od łagodnego do umiarkowanego. W badaniu klinicznym DOSE (Reddy 2022) umiarkowane lub ciężkie zdarzenia niepożądane rzadziej wystąpiły w grupie leczonej niższą dawką deflazakortu niż standardowa, ale nie we wszystkich punktach końcowych uzyskano porównywalne efekty leczenia przy obniżeniu dawki. Metaanalizy Shieh 2021 oraz Mc Donald 2023 wskazały na przewagę deflazakortu nad prednizonem/prednizolonem w zakresie ocenianych punktów końcowych: test 6MWD (dystans 6-min. marszu), test wchodzenia na 4 schody i test schodzenia z 4 schodów. Deflazakort bardziej niż prednizon/ prednizolon zmniejszał ryzyko utraty chodzenia (Landfeldt 2024a). Przegląd systematyczny Lanfeldt 2024b wykazał, że stosowanie glikokortykoidów (deflazakort, prednizon lub prednizolon) wiąże się z poprawą frakcji wyrzutowej i niższym ryzykiem kardiomiopatii, dysfunkcji komór i śmiertelności związanej z niewydolnością serca.

Brytyjskie wytyczne BTS 2022 oraz międzynarodowe wytyczne opracowane przez ekspertów z Peru Malaga 2024 zgodnie wskazują, iż deflazakort oraz prednizon są standardem postępowania od najmłodszych lat u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a.

#### Problem ekonomiczny

Na podstawie danych ze zlecenia MZ oszacowano, że średnia liczba opakowań leku Dezacor przypadająca na rok terapii jednego pacjenta pediatrycznego z dystrofią mięśniową Duchenne'a wynosi 15,5, zaś średni roczny koszt terapii jednego pacjenta ponoszony przez płatnika wynosi 1 191,90 zł.

Roczny koszt terapii całej populacji oszacowano na 26 221,82 zł przy założeniu, że liczebność populacji pacjentów stosujących produkt leczniczy Dezacor utrzyma się na poziomie wskazanym w zleceniu MZ (22 pacjentów rocznie), a koszt leku sprowadzanego zza granicy nie ulegnie zmianie.

#### Główne argumenty decyzji:

- obok prednizonu terapia deflazakortem stanowi podstawowe postępowanie objawowe u pacjentów z dystrofią mięśniową Duchenne'a;
- aktualne dane naukowe wskazują na istnienie niewielkiej przewagi deflazakortu nad prednizonem w zakresie profilu bezpieczeństwa;
- koszty terapii nie są wysokie.

**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 2024 r., poz. 146) 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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.40.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.26.2021) „Dezacor (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne’a”; data ukończenia: 19 grudnia 2024 r.