Stanowisko Rady Przejrzystości nr 40/2025 z dnia 7 kwietnia 2025 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych Mestinon Retard (pyridostigmini bromidum) oraz Mestinon (pyridostigmini) we wskazaniu: miastenia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów leczniczych:

- *Mestinon Retard (pyridostigmini bromidum), tabletki o przedłużonym uwalnianiu 180 mg;*
- *Mestinon (pyridostigmini bromidum), syrop 60 mg/ml;*

we wskazaniu: miastenia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Bromek pyridostigminy to inhibitor esterazy cholinowej zwiększający przewodzenie impulsów w obrębie płytki nerwowo mięśniowej. Lek ten ma ugruntowaną od lat pozycję w leczeniu miastenii, powszechnie stosowany jest w tym wskazaniu. W swoich poprzednich Stanowiskach nr 30/2018 z dnia 26 marca 2018 roku i nr 78/2021 z dnia 21 czerwca 2021 r., Rada Przejrzystości uznała za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, przedmiotowych leków.

Dowody naukowe

Brak jest nowych (publikowanych od czasu poprzedniego Stanowiska Rady Przejrzystości) wysokiej jakości badań klinicznych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo bromku pyridostygminy w leczeniu miastenii. Dostępne jest jedno badanie z 2010 r. z prospektywnej otwartej próby klinicznej, w której wykazano skuteczność i bezpieczeństwo leku w formie o przedłużonym uwalnianiu. Jednak rekomendacje towarzystw naukowych, w tym Polskiego Towarzystwa Neurologicznego, oraz European Academy of Neurology, wymieniają pyridostygminę jako lek pierwszego rzutu w leczeniu objawów miastenii. Ww. wytyczne odnoszą się leku w formie tabletek, jednocześnie podkreślają, iż najważniejsze przy leczeniu pacjentów z miastenią jest podejście indywidualne a terapia musi być dostosowana do każdego pacjenta.

<u>Problem ekonomiczny</u>

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia, w roku 2020 wydano zgodę na refundację 446 opakowań leku Mestinon Retard dla 21 pacjentów na łączną kwotę 301.567,36zł oraz 57 opakowań leku Mestinon syrop dla 3 pacjentów na łączną kwotę 352.566,66zł. Jest to ok. 2-krotne zwiększenie ilości refundowanych leków w porównaniu z poprzednim raportem z lat 2016-2017.

<u>Główny argument decyzji</u>

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów leczniczych: Mestinon Retard tabletki o przedłużonym uwalnianiu 180 mg; oraz Mestinon syrop 60 mg/ml; we wskazaniu miastenia. Leki te poprawiają jakość życia chorych z miastenią, pozwalają dostosować terapię do indywidualnych wymagań pacjenta, mają ugruntowaną pozycję i są rekomendowane w leczeniu miastenii.

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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.5.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.17.2021) „Mestinon (bromek pirydostygminy) we wskazaniu: miastenia"; data ukończenia: 2 kwiecień 2025 r.