



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 154/2025 z dnia 27 października 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Ospolot
(sultiam) we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka
lekooporna w przebiegu zespołu Retta

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Ospolot (sultiam), tabletki, we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka lekooporna w przebiegu zespołu Retta.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Opsolot (sultiam) we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka lekooporna w przebiegu zespołu Retta.

Padaczka (ICD-10: G40) jest przewlekłą chorobą mózgu cechującą się trwałą skłonnością do występowania napadów padaczkowych nieprovokowanych lub odruchowych. Napad padaczkowy jest skutkiem wystąpienia przemijającej, nieprawidłowej, nadmiernej lub synchronicznej czynności komórek mózgu, co prowadzi do pojawienia się stereotypowych epizodów o nagłym początku, w czasie których mogą występować zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegane przez chorego lub jego otoczenie. U ~30% chorych występuje jednak padaczka lekooporna. Zespół Retta jest zaburzeniem dziedzicznym z płcią o charakterze dominującym. Najczęściej związany jest z mutacją genu MECP2 znajdującego się na chromosomie X. Mutacje genu MECP2 i obniżenie aktywności biologicznej prowadzi do zaburzeń w rozwoju mózgowia. Konsekwencją tych zaburzeń mogą być zmiany neurologiczne oraz deficyty w aspekcie funkcji poznawczych oraz wykonawczych. Następstwami odpornej padaczki mogą być dysfunkcje i utrata niezależności, zaburzenie funkcji intelektualnych oraz większa możliwość wystąpienia objawów neurotoksycznych. Śmiertelność chorych na padaczkę jest 2-4 razy większa niż w populacji ogólnej. Przyczyną zgonu może być bezpośrednio napad padaczkowy, zwłaszcza stan padaczkowy (10%), wypadek i obrażenia ciała związane z napadem (5%), samobójstwo (7-22%) lub brak uchwytne

powodu – tzw. nagły nieoczekiwany zgon chorego na padaczkę (ok. 10%). Największe ryzyko zgonu jest u chorych z nieopanowanymi napadami.

Lek Ospolot w przedmiotowych wskazaniach był wcześniej przedmiotem oceny w Agencji w ramach importu docelowego w 2019 r. oraz 2022 r. – wydano pozytywne stanowiska oraz Rekomendacje dla wydawania zgód dla refundacji powyższego preparatu (odpowiednio nr: 40/2019 oraz 38/2018; 81/2022 oraz 84/2018).

Dowody naukowe

Od czasu ostatniej decyzji RP odnaleziono 2 badania retrospektywne kohortowe (Caraballo 2023 oraz Laliberté 2024) dotyczące analizowanego zagadnienia. Powyższe publikacje dotyczą dowodów niższej jakości niż te poprzednio oceniane przez Agencję.

W żadnych odnalezionych wytycznych klinicznych sultiam nie został wymieniony jako opcja terapeutyczna.

Problem ekonomiczny

Refundacja preparatu w ramach importu docelowego wiąże się z akceptowalnym wzrostem wydatków dla płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

- Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

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 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: DPL.4211.2.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.8.2022) „Ospolot we wskazaniach: padaczka, padaczka lekooporna, padaczka lekooporna w przebiegu zespołu Retta”, data ukończenia: 22 październik 2025 r.