



Opinia Rady Przejrzystości
nr 7/2023 z dnia 23 stycznia 2023 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
styrypentol w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną styrypentol we wskazaniu pozarejestacyjnym: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt.

Uzasadnienie

Opinia dotyczy substancji czynnej styrypentol we wskazaniu pozarejestacyjnym: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt.

Rada Przejrzystości wydała pozytywne opinie: nr 43/2020 z dnia 24 lutego 2020 roku i nr 82/2017 z dnia 27 marca 2017 roku dotyczącą refundacji styrypentolu w powyższym wskazaniu w postaci - proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, oraz negatywną ze względu na populację, której wniosek dotyczy dla postaci kapsułki twarde.

Nie odnaleziono nowych wytycznych odnoszących się do postępowania w złośliwej ogniskowej migrującej padaczce u niemowląt (ang. Epilepsy of Infancy with Migrating Focal Seizures, EIMFS). Odnaleziono jeden opis przypadku Bushlin 2020, w którym zidentyfikowano niewielkie korzyści ze stosowania styrypentolu w połączeniu z wigabatryną u niemowlęcia z EIMFS.

Brak wysokiej jakości dowodów wynika z faktu, iż EIMFS jest chorobą ultraradką, wskaźnik zapadalności określono na 0,11/100 000 dzieci (Jara 2021). Dotychczas w literaturze opisano nieco ponad 100 przypadków.

Główne argumenty decyzji

- *w stosunku do poprzednich pozytywnych opinii nie odnaleziono nowych badań naukowych i wytycznych klinicznych wskazujących na konieczność zmiany przez Radę Przejrzystości dotychczasowego wnioskowania,*
- *złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt jest chorobą ultraradką, a styrypentol stanowi jedną z opcji terapeutycznych u tych dzieci.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.4.2023 „Styrypentol w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt”; data sporządzenia opracowania 18 stycznia 2023 r.