



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
Wydział Oceny Technologii Medycznych

**Prednisonum  
we wskazaniu:**

miopatia wrodzona u dzieci do 18. roku życia  
Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego  
finansowania leków zawierających daną substancję  
czynną we wskazaniach innych niż wymienione  
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Opracowanie nr: OT.422.1.13.2023  
(Aneks do opracowania nr: OT.4320.12.2020)

Data ukończenia: 13 kwietnia 2023 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (nie dotyczy).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej (nie dotyczy).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane osobowe.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust.1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych) (Dz. U. UE.L. z 2016 r.119.1).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (nie dotyczy).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** nie dotyczy.

## Spis treści

<b>1. Przedmiot i historia zlecenia .....</b>	<b>4</b>
<b>2. Rekomendacje kliniczne .....</b>	<b>5</b>
<b>3. Wskazanie dowodów naukowych .....</b>	<b>6</b>
3.1. Wyszukiwanie dowodów naukowych .....	6
3.2. Opis badań włączonych do analizy .....	6
3.3. Wyniki badań włączonych do przeglądu .....	6
3.4. Podsumowanie .....	6
<b>4. Źródła.....</b>	<b>8</b>
<b>5. Załączniki.....</b>	<b>9</b>
5.1. Wykaz leków zawierających prednizon finansowanych ze środków publicznych w ramach oceniałego wskazania .....	9
5.2. Strategia wyszukiwania publikacji .....	9

## 1. Przedmiot i historia zlecenia

W związku z art. 40 ust. 4 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555, z późn. zm.) niniejsze opracowanie stanowi aktualizację opracowania nr OT.4320.12.2020. Na podstawie ww. opracowania wydano pozytywną Opinię Rady Przejrzystości nr 137/2020 z dnia 8 czerwca 2020 roku w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych substancji czynnej prednizon we wskazaniu innym niż ujęte w charakterystyce produktu leczniczego, tj.: miopatia wrodzona u dzieci do 18. roku życia.

Dotychczas oceniania technologia medyczna była jednokrotnie oceniana w powyższym wskazaniu. Szczegóły dotyczące poprzedniej opinii wydanej przez Radę Przejrzystości przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 1. Rekomendacje Agencji dotyczące wnioskowanej technologii**

Nr i data wydania	Opinie RP
<p style="text-align: center;"><b>Opinia Rady Przejrzystości nr 137/2020 z dnia 8 czerwca 2020 r.*</b></p>	<p>Rada Przejrzystości uznaje za <b>zasadne</b> objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną prednisonum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. miopatia wrodzona u dzieci do 18. roku życia.</p> <p><u>Uzasadnienie:</u></p> <p>Miopatie wrodzone to choroby mięśni uwarunkowane genetycznie, w których na podstawie badania histopatologicznego wycinka mięśniowego zidentyfikowano swoiste zmiany strukturalne włókien mięśniowych. Nieprawidłowości strukturalne włókien mięśniowych ujawniają się klinicznie osłabieniem mięśni i napięcia mięśniowego. Jest to grupa heterogennych chorób o zróżnicowanym pochodzeniu, w tym choroby wrodzone (między innymi dysforie, miopatie mitochondrialne, miopatie towarzyszące chorobom spichrzeniowym) jak również miopatie nabyte, w tym toksyczne i polekowe.</p> <p>Grupa miopatii wrodzonych (G71.2) (miopatia nemalinowa, „multicore”, centronuklearna) jest grupą chorób dla których nie ma specyficznego leczenia farmakologicznego. Postępowanie obejmuje terapię wspomagającą planowaną przez zespół wielodyscyplinarny obejmującą także zastosowanie glikokortykosteroidów, jednakże brak jest dowodów na efektywność takiego postępowania w tym wskazaniu (Nagai 2015).</p> <p>Rekomendacje odnoszące się do miopatii wrodzonych ICSCCMD 2010, ICSCCM 2012, które dotyczyły głównie interwencji nefarmakologicznych nie zawierały informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów.</p> <p>Poza grupą miopatii wrodzonych, do grupy pierwotnych zaburzeń mięśniowych (G71) zalicza się inne choroby wrodzone z zaburzeniami mięśniowymi w tym dystrofię mięśniową czy miopatie mitochondrialne.</p> <p>Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi prednizon jest rekomendowany w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a/Beckera (SEN 2019, DMDCCWG 2018, NDDBAN 2017, AAN 2016) i młodzieńczym zapaleniu skórno-mięśniowym (Żuber 2019). W przypadku dystrofii twarzowo-łopatkowo-ramiennej (AAN 2015) uznano, że dane są niewystarczające, aby potwierdzić pozytywny wpływ prednizonu na siłę mięśni. W rekomendacjach wskazuje się na lepszą kontrolę objawów choroby oraz poprawę siły mięśni szkieletowych (dystrofia mięśniowa Duchenne’a).</p> <p>Zdaniem eksperta w części chorób zaliczanych do miopatii, w szczególności w dystrofiach mięśniowych stosowanie glikokortykosteroidów znajduje uzasadnienie.</p> <p>Podsumowując, biorąc pod uwagę całość dostępnych danych, wytyczne kliniczne oraz stanowisko eksperta klinicznego, Rada uznaje finansowanie prednizonu we wnioskowanym wskazaniu za <b>zasadne</b>.</p>

\* [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2020/118/ORP/U\\_23\\_173\\_200608\\_o\\_137\\_prednisonum\\_off\\_label\\_zlecony.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/118/ORP/U_23_173_200608_o_137_prednisonum_off_label_zlecony.pdf)

[data dostępu: 04.04.2023r.]

Szczegółowy wykaz leków zawierających ocenianą substancję finansowanych ze środków publicznych w ramach ocenianego wskazania znajduje się w załączniku 5.1 do niniejszego aneksu.

Niniejsze opracowanie stanowi aktualizację danych zawartych w poprzednich opracowaniach w zakresie:

- istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej;
- istnienia nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej.

## 2. Rekomendacje kliniczne

W dniach 4-5.04.2023 r. przeprowadzono wyszukiwanie, którego celem było zaktualizowanie informacji o wytycznych praktyki klinicznej opisanych w opracowaniu AOTMiT z 2020 roku.

W celu odnalezienia wytycznych praktyki klinicznej opublikowanych od 2020 roku przeszukano następujące źródła:

- Guidelines International Network (GIN; <http://www.g-i-n.net/>);
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE; <https://www.nice.org.uk/>);
- National Health and Medical Research Council (NHMRC; <https://www.nhmrc.gov.au/>);
- Prescribe International (<https://english.prescrire.org/en/>);
- Agency for Healthcare Research and Quality (<https://www.ahrq.gov/prevention/guidelines/index.html>);
- Scottish Intercollegiate Guidelines Network (SIGN; <http://www.sign.ac.uk/>);
- Trip Data Base (<https://tripdatabase.com/>);
- Brazilian Academy Of Neurology <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC10014210/>

Dodatkowo przeprowadzono niesystematyczne wyszukiwanie przy użyciu wyszukiwarki internetowej z zastosowaniem słów kluczowych: congenital myopathy, nemalin myopathy, congenital muscular dystrophies, genetic myopathies.

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono nowych wytycznych odnoszących się do miopatii wrodzonych, odnaleziono natomiast trzy publikacje: Dowling 2018 – przegląd dotyczący leczenia zaburzeń nerwowo-mięśniowych u dzieci oraz prace pogładowe: Claeys 2019 i Gineste 2023 dotyczące miopatii wrodzonych. We wszystkich ww. publikacjach wskazano, że nie ma obecnie terapii zatwierdzonych oraz jednoznacznie zalecanych w leczeniu miopatii wrodzonych. W publikacji Gineste 2023 wskazano, że przeprowadzono wiele badań przedklinicznych oraz kilka badań klinicznych dla różnych terapii mogących mieć zastosowanie w leczeniu miopatii wrodzonych, jednak do tej pory wyniki zakończonych badań nie są rozstrzygające. W publikacjach Dowling 2018 oraz Claeys 2019 przedstawiono informację, iż zaleca się multidyscyplinarne podejście w leczeniu miopatii wrodzonych – pacjent powinien być pod opieką zespołu specjalizującego się w chorobach nerwowo-mięśniowych, w którego skład wchodzi neurolog dziecięcy, pulmonolog, chirurg ortopeda, kardiolog, fizjoterapeuta, terapeuta zajęciowy, logopeda, dietetyk i neuropsycholog.

Warto zauważyć, że spośród wskazanych możliwych podejść terapeutycznych nie wymieniono zarówno prednizonu, jak i kortykosteroidów. Powyższe publikacje nie stanowią wytycznych, jednak zdecydowano się je przedstawić z uwagi na rzadki charakter choroby oraz niedostępność oficjalnych zaleceń klinicznych w tym schorzeniu.

W poprzednim raporcie nr OT.4320.12.2020 odnalezione rekomendacje (ICSCCMD 2010 i ICSCCM 2012) dotyczyły jedynie interwencji nefarmakologicznych i nie zawierały informacji o kortykosteroidach. Wówczas, ze względu na odległe daty publikacji wspomnianych wytycznych i wspomniany brak informacji o kortykosteroidach, rozszerzono wyszukiwanie o wytyczne obejmujące miopatie o podłożu genetycznym dla populacji pediatrycznej, które nie są kwalifikowane do miopatii wrodzonych. Należy przy tym zaznaczyć, że w raporcie wskazano, iż w literaturze naukowej wrodzone miopatie i wrodzone dystrofie mięśniowe uznawane są jako klinicznie i genetycznie odrębne jednostki chorobowe (Iannaccone 2013, Russell 2019).

### 3. Wskazanie dowodów naukowych

#### 3.1. Wyszukiwanie dowodów naukowych

Analitycy Agencji przeprowadzili aktualizację przeglądu systematycznego przeprowadzonego w 2020 roku w celu odnalezienia dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania produktów leczniczych zawierających prednizon w leczeniu miopatii wrodzonej u dzieci do 18 roku życia. Wyszukiwanie przeprowadzono w 03.04.2023 r. w bazach medycznych MEDLINE (via Pubmed), EMBASE oraz Cochrane Library. Jako datę odcięcia przyjęto dzień 15 maja 2020 r. tj. do aneksu włączano badania opublikowane po dacie wyszukiwania przeprowadzonego w opracowaniu OT.4320.12.2020.

Poniżej przedstawiono kryteria włączenia badań do analizy:

**Populacja:** dzieci do 18. roku życia z wrodzoną miopatią.

**Interwencja:** prednizon.

**Komparator:** bez ograniczeń.

**Punkty końcowe:** dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania prednizonu w analizowanej populacji pacjentów.

**Typ badań:** dowody naukowe z najwyższego dostępnego poziomu wiarygodności wg Wytocznych HTA.

**Inne:** publikacje w języku angielskim i polskim, dostępne w postaci pełnego tekstu.

Przeprowadzoną strategię wyszukiwania przedstawiono w załączniku nr 5.2 do niniejszego opracowania.

#### 3.2. Opis badań włączonych do analizy

Nie odnaleziono badań spełniających predefiniowane kryteria włączenia do analizy.

#### 3.3. Wyniki badań włączonych do przeglądu

Nie dotyczy.

#### 3.4. Podsumowanie

W ramach przeprowadzonego przeglądu nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia i odnoszących się do stosowania prednizonu we wskazaniu miopatia wrodzona u dzieci do 18. roku życia.

Brak dowodów może wynikać z rzadkiego i niejednorodnego charakteru ocenianej jednostki chorobowej – oszacowany wskaźnik chorobowości w populacji dzieci wynosi 2,76 (95% CI: 1,34; 4,18) na 100 000 (Huang 2021). Jednak, jak wskazano w rozdziale 2 niniejszego opracowania, w odnalezionych publikacjach poglądowych nie wymieniono kortykosteroidów jako potencjalnej formy leczenia.

W poprzednim raporcie również nie odnaleziono żadnych badań we wnioskowanym wskazaniu. Odniesiono się natomiast do opinii dr hab. n. med. Krystyny Szymańskiej, Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie neurologii dziecięcej, która powołała się na przegląd systematyczny Cochrane (Matthews 2016) dotyczący dystrofii mięśniowej Duchenne'a (DMD).

Należy przy tym zaznaczyć, że w przedstawionej opinii w raporcie w 2020 r. KW wskazała, że *wrodzone miopatie są heterogenną grupą do której zaliczają się miopatie „klasyczne” oraz część autorów włącza do tej grupy dystrofinopatie*. W opinii Konsultant Wojewódzkiej dystrofia mięśniowa Duchenn'a jest leczona sterydami, natomiast subpopulacją, która nie skorzysta ze stosowania ocenianej technologii są osoby z pozostałymi miopatiami.

Z uwagi na to, że wrodzone miopatie i wrodzone dystrofie mięśniowe uznawane są jako klinicznie i genetycznie odrębne jednostki chorobowe zarówno w literaturze naukowej jak i w świetle klasyfikacji ICD-10<sup>1</sup> oraz ICD-11<sup>2</sup>, w niniejszym opracowaniu również uznano je za odrębne jednostki i nie wyszukiwano dowodów naukowych dla DMD.

---

<sup>1</sup> Kod ICD-10 dla dystrofii mięśniowej Duchenne'a to G71.0, a dla wrodzonej miopatii G71.2

<sup>2</sup> Kod ICD-11 dla dystrofii mięśniowej Duchenne'a to 8C70.1, a dla wrodzonej miopatii 8C72 (źródło: <https://icd.who.int/browse11/l-m/en#/http://id.who.int/icd/entity/1185572073>, dostęp: 13.04.2023)

## 4. Źródła

### Pozostałe publikacje

- ChPL Encorton** Charakterystyka Produktu Leczniczego Encorton (data ostatniego przedłużenia pozwolenia 23.12.2013 r.)  
[https://www.google.com/url?sa=t&rct=j&q=&esrc=s&source=web&cd=&ved=2ahUKEwj7IMr2j5D-AhUxmIsKHTjmAJsQFnoECBsQAQ&url=https%3A%2F%2Frejestrmedyczne.ezdrowie.gov.pl%2Fapi%2Frp%2Fmedicinal-products%2F2202%2Fcharacteristic&usq=AOvVaw2g\\_iVKlpB3exFDdhWuOHXF](https://www.google.com/url?sa=t&rct=j&q=&esrc=s&source=web&cd=&ved=2ahUKEwj7IMr2j5D-AhUxmIsKHTjmAJsQFnoECBsQAQ&url=https%3A%2F%2Frejestrmedyczne.ezdrowie.gov.pl%2Fapi%2Frp%2Fmedicinal-products%2F2202%2Fcharacteristic&usq=AOvVaw2g_iVKlpB3exFDdhWuOHXF)  
[dostęp: 04.04.2023 r.]
- Claeys 2019** Claeys, Kristl G. "Congenital myopathies: an update." *Developmental Medicine & Child Neurology* 62.3 (2019): 297-302. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/pdf/10.1111/dmcn.14365> [dostęp: 13.04.2023 r.]
- Dowling 2018** Dowling, James J., et al. "Treating pediatric neuromuscular disorders: the future is now." *American journal of medical genetics Part A* 176.4 (2018): 804-841. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1002/ajmg.a.38418> [dostęp: 13.04.2023 r.]
- Gineste 2023** Gineste, Charlotte, and Jocelyn Laporte. "Therapeutic approaches in different congenital myopathies." *Current Opinion in Pharmacology* 68 (2023): 102328. <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S1471489222001552> [dostęp: 13.04.2023 r.]
- Huang 2021** Huang, Kun, Fang-Fang Bi, and Huan Yang. "A systematic review and meta-analysis of the prevalence of congenital myopathy." *Frontiers in Neurology* 12 (2021): 761636. <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fneur.2021.761636/full> [dostęp: 13.04.2023 r.]



## 5. Załączniki

### 5.1. Wykaz leków zawierających prednizon finansowanych ze środków publicznych w ramach ocenianego wskazania

Tabela 2. Produkty lecznicze refundowane w ocenianym wskazaniu zgodnie z obwieszczeniem MZ z dnia 20 lutego 2023 r.

Nazwa, postać i dawka leku	Opak.	Kod EAN	UCZ [zł]	CHB [zł]	CD [zł]	WLF [zł]	PO	WDŚ [zł]
<b>82.5, Kortykosteroidy do stosowania ogólnego - glikokortykoidy do podawania doustnego - prednison</b>								
Encorton, tabl., 1 mg	20 szt.	05909991289416	7,45	7,82	8,20	1,18	ryczałt	8,20
Encorton, tabl., 10 mg	20 szt.	05909990405312	16,20	17,01	20,34	11,84	ryczałt	11,70
Encorton, tabl., 20 mg	20 szt.	05909990405411	21,60	22,68	27,95	23,68	ryczałt	8,54
Encorton, tabl., 5 mg	100 szt.	05909990641192	22,45	23,57	29,60	29,60	ryczałt	5,33
Encorton, tabl., 5 mg	20 szt.	05909990641185	9,72	10,21	12,09	5,92	ryczałt	9,37

Skróty: UCZ – urzędowa cena zbytu, CHB – cena hurtowa brutto, CD – cena detaliczna, WLF – Wysokość limitu finansowania, PO – poziom odpłatności, WDŚ – wysokość dopłaty świadczeniobiorcy.

### 5.2. Strategia wyszukiwania publikacji

Tabela 3. Strategia wyszukiwania w bazie Pubmed (data wyszukiwania: 03.04.2023 r., aktualizacja wyszukiwania z 15.05.2020 r.)

Nr wyszukiwania	Kwerenda	Liczba rekordów
1	Search: "Prednisone"[Mesh] Sort by: Most Recent	41,167
2	Search: Prednison*[Title/Abstract] OR encorton*[Title/Abstract] OR Dehydrocortisone[Title/Abstract]	32,172
3	Search: ("Prednisone"[Mesh]) OR (Prednison*[Title/Abstract] OR encorton*[Title/Abstract] OR Dehydrocortisone[Title/Abstract])	57,232
4	Search: "Myopathies, Structural, Congenital"[Mesh] Sort by: Most Recent	1,550
5	Search: Congenital myopathy[MeSH Terms]	8,401
6	Search: Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaline[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]	289,178
7	Search: Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract]	326
8	Search: (Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaline[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]) OR (Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract])	289,491
9	Search: myopath*[Title/Abstract]	31,322
10	Search: (((Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaline[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]) OR (Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract])) AND (myopath*[Title/Abstract])	3,905
11	Search: (Fiber[Title/Abstract] AND Type[Title/Abstract]) OR (Fiber-Type[Title/Abstract])	23,651
12	Search: Disproportion*[Title/Abstract]	50,211
13	Search: Congenital*[Title/Abstract]	288,036
14	Search: ((Congenital*[Title/Abstract]) AND ((Fiber[Title/Abstract] AND Type[Title/Abstract]) OR (Fiber-Type[Title/Abstract]))) AND (Disproportion*[Title/Abstract])	185
15	Search: Central core disease[Title/Abstract]	446
16	Search: (((("Myopathies, Structural, Congenital"[Mesh]) OR (Congenital myopathy[MeSH Terms])) OR (((Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaline[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]) OR (Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract])) AND (myopath*[Title/Abstract]))) OR (((Congenital*[Title/Abstract]) AND ((Fiber[Title/Abstract] AND Type[Title/Abstract]) OR (Fiber-Type[Title/Abstract]))) AND (Disproportion*[Title/Abstract]))) OR (Central core disease[Title/Abstract])	10,439

Nr wyszukiwania	Kwerenda	Liczba rekordów
17	Search: (("Prednisone"[Mesh]) OR (Prednison*[Title/Abstract] OR encorton*[Title/Abstract] OR Dehydrocortisone[Title/Abstract])) AND (((("Myopathies, Structural, Congenital"[Mesh]) OR (Congenital myopathy[MeSH Terms])) OR (((Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaleine[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]) OR (Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract])) AND (myopath*[Title/Abstract]))) OR (((Congenital*[Title/Abstract] AND ((Fiber[Title/Abstract] AND Type[Title/Abstract]) OR (Fiber-Type[Title/Abstract]))) AND (Disproportion*[Title/Abstract]))) OR (Central core disease[Title/Abstract])) Sort by: Most Recent	18
18	Search: (("Prednisone"[Mesh]) OR (Prednison*[Title/Abstract] OR encorton*[Title/Abstract] OR Dehydrocortisone[Title/Abstract])) AND (((("Myopathies, Structural, Congenital"[Mesh]) OR (Congenital myopathy[MeSH Terms])) OR (((Congenital*[Title/Abstract] OR Centronuclear[Title/Abstract] OR Nemaleine[Title/Abstract] OR Myotubular[Title/Abstract]) OR (Tubular[Title/Abstract] AND Aggregate[Title/Abstract])) AND (myopath*[Title/Abstract]))) OR (((Congenital*[Title/Abstract] AND ((Fiber[Title/Abstract] AND Type[Title/Abstract]) OR (Fiber-Type[Title/Abstract]))) AND (Disproportion*[Title/Abstract]))) OR (Central core disease[Title/Abstract])) Filters: from 2020/5/1 - 3000/12/12 Sort by: Most Recent	3

**Tabela 4. Strategia wyszukiwania w bazie Embase (data wyszukiwania: 3.04.2023 r., aktualizacja wyszukiwania z 18.05.2020 r.)**

Nr wyszukiwania	Kwerenda	Liczba rekordów
1	exp prednisone/	195383
2	"prednison*".ab,kw,ti.	58081
3	"encorton*".ab,kw,ti.	63
4	ehydrocortisone.ab,kw,ti.	0
5	1 or 2 or 3 or 4	202104
6	"congenital*".ab,kw,ti.	362446
7	centronuclear.ab,kw,ti.	792
8	nemaleine.ab,kw,ti.	1395
9	myotubular.ab,kw,ti.	699
10	tubular.ab,kw,ti.	116306
11	aggregate.ab,kw,ti.	67371
12	10 and 11	402
13	6 or 7 or 8 or 9 or 12	364296
14	"myopath*".ab,kw,ti.	45318
15	13 and 14	6054
16	fiber.ab,kw,ti.	200540
17	type.ab,kw,ti.	3079754
18	16 and 17	28032
19	"disproportion*".ab,kw,ti.	65946
20	6 and 18 and 19	247
21	central core disease.ab,kw,ti.	554
22	central.ab,kw,ti.	1264266
23	core.ab,kw,ti.	425524
24	disease.ab,kw,ti.	5380321
25	22 and 23 and 24	3955
26	21 or 25	3976
27	15 or 20 or 26	9789
28	5 and 27	74

Nr wyszukiwania	Kwerenda	Liczba rekordów
29	limit 28 to yr="2020"	8

**Tabela 5. Strategia wyszukiwania w bazie Cochrane (data wyszukiwania: 3.04.2023 r., aktualizacja wyszukiwania z 15.05.2020 r.)**

Nr wyszukiwania	Kwerenda	Liczba rekordów
#1	MeSH descriptor: [Prednisone] explode all trees	4445
#2	(encorton*):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	4
#3	(Prednison*):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	10642
#4	(Dehydrocortisone):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	1
#5	#1 or #2 or #3 or #4	10643
#6	MeSH descriptor: [Myopathies, Structural, Congenital] explode all trees	5
#7	(Congenital myopathy):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	38
#8	(Congenital*):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	10326
#9	(Centronuclear):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	14
#10	(Nemaline):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	5
#11	(Myotubular):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	15
#12	(Tubular):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	2495
#13	(Aggregate):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	12755
#14	#12 and #13	17
#15	#8 or #9 or #10 or #11 or #14	10355
#16	(myopath*):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	1114
#17	#15 and #16	49
#18	(fiber):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	15205
#19	(type):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	209091
#20	#18 and #19	3226
#21	(Fiber-Type):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	339
#22	#20 and #21	339
#23	(disproportion):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	413
#24	#8 and #22 and #23	0
#25	(central core disease):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	745
#26	(central):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	70244
#27	(core):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	20312
#28	(disease):ti,ab,kw (Word variations have been searched)	511064
#29	#26 and #27 and #28	745
#30	#6 or #7 or #17 or #24 or #25 or #29	791
#31	#5 and #30 with Cochrane Library publication date from May 2020 to present	3