



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 95/2021 z dnia 19 lipca 2021 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Calcort (deflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Calcort (daflazakort), tabletki á 6 mg i 30 mg, we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Glikokortykosteroidy stanowią fundament leczenia nieuleczalnej, rzadkiej choroby jaką jest dystrofia mięśniowa typu Duchenne'a. Deflazakort jest promowany jako lek o mniejszych niekorzystnych działaniach metabolicznych niż prednizon. W wielu krajach jest on stosowany u chłopców z dystrofią mięśniową typu Duchenne'a.

Poprzednie stanowisko Rady Przejrzystości z roku 2017 (nr 120/2017) było pozytywne, z ograniczeniem do drugiej linii leczenia. Rekomendacja Prezesa (67/2017), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego była natomiast negatywna.

Dowody naukowe

W wyniku aktualizacji przeglądu nie zidentyfikowano badań, przeglądów systematycznych oraz badań randomizowanych, spełniających kryteria włączenia, opublikowanych po dacie wyszukiwania zastosowanej w raporcie z 2017 roku, stanowiącym podstawę dla poprzednich opinii.

Problem ekonomiczny

Koszty refundacji Calcortu w 2020 roku wyniosły ok 3 tys. złotych.

Główne argumenty decyzji

Brak nowych dowodów naukowych, pozwalających jednoznacznie potwierdzić przewagę kliniczną deflazakortu nad dostępnymi odpowiednikami.



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 2020 r., poz. 1398 z późn. zm.) 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 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.23.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.431.9.2017) „Calcort (daflazakort) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa typu Duchenne’a”. Data ukończenia: 09.07.2021.