

Warszawa, 26 kwietnia 2024 roku

Konsultant Krajowa ds. Neurologii

Prof. Dr. Hab. Agnieszka Słowik

Szanowna Pani Profesor,

Jako eksperci zajmujący się na co dzień leczeniem spastyczności zwracamy się z uprzejmą prośbą o zaopiniowanie naszej prośby o umożliwienie dostępu do ujednoczenia kryteriów kwalifikacji pacjentów do toksyn botulinowych typu A (Botox, Dysport) w ramach programu lekowego B.57 „Leczenie pacjentów ze spastycznością kończyn z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10: I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91).

Przypominamy, że już w 2018 roku zgodnie z **Rekomendacją interdyscyplinarnej grupy ekspertów w zakresie kompleksowego i długofalowego leczenia spastyczności toksyną botulinową typu A** zalecane jest stosowanie BoNT-A we wszystkich wskazaniach ze względu na podobny patomechanizm.<sup>1</sup>

Następnie w 2023 roku zostały opublikowane w Polskim Przeglądzie Neurologicznym **rekomendacje interdyscyplinarnej grupy ekspertów**<sup>2</sup>, które zalecają stosowanie BoNT-A we wskazaniach: stwardnienie rozsiane, pacjenci po urazach mózgu i rdzenia kręgowego, dorośli z mózgowym porażeniem dziecięcym (MPDz), Dziedziczne paraplegie spastyczne.

Oceniając jedną z toksyn botulinowych typu A (Dysport; Stanowisko Rady Przejrzystości nr 47/2023 z dnia 24 kwietnia 2023 roku) Rada Przejrzystości w swoich uwagach do projektu programu lekowego zgłosiła, że „w wynikach badań naukowych nie ma podstaw, aby ograniczać leczenie spastyczności w określonych lokalizacjach do wybranych preparatów leku.”<sup>3</sup>

**O zasadności objęcia refundacją wszystkich dostępnych leków zawierających substancję czynną toksyna botulinowa typu A** w programie lekowym B.57 wypowiedziała się Rada Przejrzystości w Opinii Rady Przejrzystości nr 147/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną toksyna botulinowa typu A w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych.<sup>4</sup>

---

<sup>1</sup> Rekomendacje interdyscyplinarnej grupy ekspertów w zakresie kompleksowego i długofalowego leczenia spastyczności toksyną botulinową typu A. Polski Przegląd Neurologiczny 2018;14(2): 47-59

<sup>2</sup> Toksyna botulinowa w leczeniu spastyczności o różnej etiologii - rekomendacje interdyscyplinarnej grupy ekspertów. Polski Przegląd Neurologiczny 2023;19(1): 1-23

<sup>3</sup> Stanowisko Rady Przejrzystości nr 47/2023 z dnia 24 kwietnia 2023 roku w sprawie oceny leku Dysport (toxinum botulinicum typum A ad iniectabile) w ramach programu lekowego „Leczenie spastyczności kończyny górnej lub dolnej z użyciem toksyny botulinowej typu A (ICD-10 I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91)

<sup>4</sup> Opinia Rady Przejrzystości nr 147/2023 z dnia 28 sierpnia 2023 roku w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną toksyna botulinowa typu A w wybranych wskazaniach pozarejestacyjnych

W świetle wprowadzonej w dniu 26 stycznia 2024 roku zmiany w Charakterystyce Produktu Leczniczego Botox polegającej na poszerzeniu zakresu wskazania rejestracyjnego o spastyczność bez względu na etiologię, tym bardziej widzimy zasadność wprowadzenia postulowanej zmiany.

Biorąc pod uwagę przedstawione powyżej argumenty wnioskujemy o niezwłoczne wprowadzenie zmiany w zapisie programu lekowego B.57 w kolumnie „Świadczeniobiorcy” w punkcie 1. Kryteria kwalifikacji zastępując zapis:

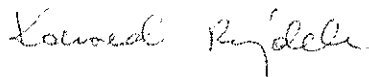
*Do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej Dysport kwalifikuje się pacjentów spełniających łącznie kryteria 1,2,4,7 lub 1,2,5,7 lub 1,3,4,7 lub 1,3,5,7.*

*Do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej Botox kwalifikuje się pacjentów spełniających łącznie kryteria 1,2,4,7 lub 1,2,5,6,7.*

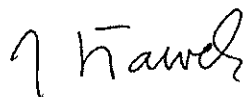
Poprzez

*Do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej Botox i Dysport kwalifikuje się pacjentów spełniających łącznie kryteria 1,2,4,7 lub 1,2,5,7 lub 1,3,4,7 lub 1,3,5,7.*

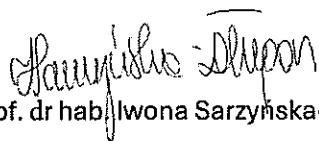
Wprowadzenie postulowanych zmian zapewni indywidualizację terapii pacjentów ze spastycznością bez względu na etiologię, zagwarantuje możliwość kontynuacji terapii spastyczności pacjentom, którzy osiągnęli pełnoletniość wcześniej leczonych w programie B.30 (Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym (ICD-10 G 80), możliwość zastosowania optymalnej dawki toksyny botulinowej typu A dla osiągnięcia celu terapeutycznego. Jednocześnie zwracamy uwagę na zabezpieczenie dostępności do różnych preparatów toksyny botulinowej typu A na poziomie ośrodka klinicznego, co jest ważne z punktu widzenia bezpieczeństwa.



Prof. dr hab. Konrad Rejdak



Prof. dr hab. Jarosław Stawek



Prof. dr hab. Iwona Sarzyńska-Długosz

Załącznik

Proponowane zmiany zapisów w trybie zmian naniesione na zapisy aktualnego programu lekowego B.57

## LECZENIE PACJENTÓW ZE SPASTYCZNOŚCIĄ KOŃCZYN Z UŻYCIEM TOKSYNY BOTULINOWEJ TYPU A (ICD-10: I61, I63, I69, G35, G80, G82, G83, T90, T91)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>W ramach programu lekowego udostępnia się terapie:</p> <p>1) <i>toxinum botulinum</i>,</p> <p><u>zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.</u></p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <p>Do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej Botox albo Dysport kwalifikuje się pacjentów spełniających łącznie kryteria 1,2,4,7 lub 1,2,5,7 lub 1,3,4,7 lub 1,3,5,7.</p> <p>-</p> <p>Do leczenia z zastosowaniem toksyny botulinowej Xeomin kwalifikuje się pacjentów spełniających łącznie kryteria 1,2,4,7.</p> <p>1) wiek od 18 roku życia;</p> <p>2) pacjenci po przebyłym niedokrwiennym lub krwotocznym udarze mózgu (ICD-10 I61, I63, I69), udokumentowanym wypisem ze szpitala;</p> <p>3) pacjenci:</p> <p>a) po przebyłym urazie OUN (ICD-10 T90, T91) udokumentowanym wypisem ze szpitala;</p>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualnymi Charakterystykami Produktu Leczniczego (ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną.</p> <p>Maksymalne dawki na sesję:</p> <p>1) Botox: kończyna górna i dolna 600 j. (tylko kończyna górna – 350 j., tylko kończyna dolna – 400 j.);</p> <p>2) Dysport: kończyna górna i dolna 1500 j. (tylko kończyna górna – 1100 j., tylko kończyna dolna – 1500 j.);</p> <p>3) Xeomin: tylko kończyna górna - 500 j.</p> <p>Częstość podawania leku zależy od stanu klinicznego pacjenta – maksymalnie 3 podania preparatu na każdą leczoną kończynę w każdym roku, nie częściej niż co 12 tygodni.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <p>1) badanie neurologiczne:</p> <p>a) ocena spastyczności w zmodyfikowanej skali Ashwortha – MAS,</p> <p>b) test oceniający stopień osłabienia siły mięśni kończyny górnej lub dolnej według skali Medical Research Council (MRC) (0–5 w poszczególnych grupach mięśniowych),</p> <p>c) ocena stanu ruchowego z opisową oceną czynności możliwych do wykonania kończyną ze spastycznością;</p> <p>2) u pacjentów przyjmujących leki antykoagulacyjne – acenokumarol lub warfarynę, wykonuje się badanie INR (dopuszczalna wartość INR ≤ 2,5).</p> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p>

<p>lub</p> <p>b) z udokumentowanym rozpoznaniem stwardnienia rozsianego (ICD-10 G35);</p> <p>lub</p> <p>c) z udokumentowanym rozpoznaniem mózgowego porażenia dziecięcego (ICD-10 G80);</p> <p>lub</p> <p>d) z udokumentowanym rozpoznaniem paraplegii spastycznej (ICD10 G82, G83)</p> <p>4) pacjenci z potwierdzoną spastycznością kończyny górnej / kończyn górnych w stopniu umiarkowanym lub wyższym (wynik w zmodyfikowanej skali Ashwortha – MAS <math>\geq</math> 2) w przynajmniej jednej grupie mięśniowej;</p> <p>5) pacjenci z potwierdzoną spastycznością kończyny dolnej / kończyn dolnych w stopniu umiarkowanym lub wyższym (wynik w zmodyfikowanej skali Ashwortha – MAS <math>\geq</math> 2) w przynajmniej jednej grupie mięśniowej;</p> <p>6) pacjent zdolny do przyjęcia pozycji stojącej;</p> <p>7) brak przeciwwskazań do leczenia wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego.</p> <p>W zależności od decyzji lekarza, zaleca się rozpoczęcie indywidualnej kinezyterapii nie później niż 4 tygodnie po podaniu leku.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <p>Leczenie należy kontynuować do momentu podjęcia przez lekarza decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p> <p>Maksymalnie finansuje się 3 podania preparatu na każdą leczoną kończynę w każdym roku, nie częściej niż co 12 tygodni.</p>	<p>Zalecane podawanie pod kontrolą elektromiografii (EMG), stymulacji elektrycznej mięśnia lub ultrasonografii (USG).</p>	<p>Odpowiedź na leczenie jest weryfikowana podczas wizyt kontrolnych. Dwie pierwsze wizyty monitorujące powinny zostać wykonane 4 – 8 tygodni po podaniu pierwszej i drugiej dawki leku, a kolejne przed podaniem pacjentowi kolejnej dawki leku.</p> <p>Podczas wizyt kontrolnych wykonuje się:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) ocenę odpowiedzi na zastosowane leczenie mierzoną w zmodyfikowanej skali Ashwortha–MAS (poprawa o minimum 1 punkt), która stanowi kryterium podania kolejnych dawek leku;</li> <li>2) ocenę efektu podania leku według lekarza i według pacjenta przeprowadzaną za pomocą skali CGI–IS (Clinical Global Impression – Improvement Scale);</li> <li>3) test oceniający stopień osłabienia siły mięśni kończyny górnej lub dolnej według skali Medical Research Council (MRC) (0–5 w poszczególnych grupach mięśniowych);</li> <li>4) ocenę stanu ruchowego z opisową oceną czynności możliwych do wykonania kończyną ze spastycznością.</li> </ol> <p>W dokumentacji medycznej pacjenta zamieszcza się informację o rodzaju i formie prowadzonej u pacjenta rehabilitacji, jeśli dotyczy.</p> <p><b>3. Monitorowanie programu</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</li> </ol>
---	---	--

### 3. Kryteria wyłączenia z programu

- 1) brak odpowiedzi na leczenie w dwóch kolejnych sesjach podania leku  
Odpowiedź na leczenie definiowana jest jako spadek napięcia mięśniowego o  $\geq 1$  punkt w zmodyfikowanej skali Ashworth–MAS względem wartości wyjściowych;
- 2) utrwalony przykurcz kończyny górnej lub dolnej lub zanik mięśni w porażonej kończynie;
- 3) wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia;
- 4) wystąpienie działań niepożądanych uniemożliwiających kontynuację leczenia zgodnie z decyzją lekarza;
- 5) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia;
- 6) wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania;
- 7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia;
- 8) ciąża lub karmienie piersią.

2) uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, w tym również parametrów dotyczących skuteczności leczenia:

- a) zmiana wyniku w zmodyfikowanej skali Ashworth–MAS,
- b) efekt podania leku według lekarza i według pacjenta monitorowany za pomocą skali CGI–IS (Clinical Global Impression – Improvement Scale),
- c) wynik testu oceniającego stopień osłabienia siły mięśni kończyny górnej lub dolnej według skali Medical Research Council (MRC),

z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;

3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ