



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 7/2016 z dnia 18 stycznia 2016 roku  
w sprawie oceny leku Vimizim (elosulfaza alfa) kod EAN:  
5909991137632 we wskazaniu: leczenie mukopolisacharydozy  
typu IVA (zespół Morquio A)

*Rada Przejrzystości nie uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego: Vimizim (elosulfaza alfa), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 2 mg/kg masy ciała, 1 fiol. po 5 ml, kod EAN: 5909991137632, stosowanego w ramach przedkładanego programu lekowego „Leczenie mukopolisacharydozy typu IV A (zespół Morquio A) (ICD-10: E76.2).”*

### Uzasadnienie

*Nieliczne, dobrej jakości dowody naukowe wskazują na skuteczność elosulfazy alfa w leczeniu mukopolisacharydozy typu IV A, jednak wyłącznie w odniesieniu do wybranych zastępczych punktów końcowych, przede wszystkim odległości przebytej w sześciominutowym teście chodu (6MWT), liczby schodów pokonanej w ciągu 3 minut (3MSCT), stężenia SK w moczu oraz niektórych wyników badań czynnościowych układu oddechowego (FVC, MVV).*

*Uzyskane dowody dotyczą obserwacji krótkoterminowych i nielicznych obserwacji średnioterminowych. Brak jest dobrej jakości dowodów wskazujących na skuteczność elosulfazy alfa w odniesieniu do wyżej wymienionych punktów końcowych w obserwacji długoterminowej. Dodatkowo zarówno 6MWT jak i 3MSCT nie zostały właściwie zwalidowane w ocenianej populacji. Brak jest jednoznacznych danych dotyczących wartości progowych dla minimalnych istotnych klinicznie różnic (MIKR) w wynikach wyżej wymienionych testów. W części badań mających na celu ocenę MIKR dla 6MWT w innych populacjach chorych, w tym z niewydolnością oddechową, wartości te były istotnie wyższe od obserwowanych.*

*Brak jest dowodów naukowych pozwalających ocenić wpływ elosulfazy alfa na śmiertelność w tej populacji chorych. Profil bezpieczeństwa stosowania leku w obserwacji odległej nie jest udokumentowany.*

*Zapisy przedmiotowego programu lekowego są w wielu miejscach niejasne i nieprecyzyjne. W przedkładanym programie lekowym nie zdefiniowano*



*na przykład jednoznacznie kryteriów nieskuteczności lub niedostatecznej skuteczności leczenia, jasno określających moment przerwania leczenia. Kryteria takie powinny zostać ściśle określone.*

*Finansowanie leku spowodowałoby bardzo wysokie obciążenie dla płatnika publicznego. Wskaźniki efektywności kosztowej leku przekraczają o rząd wielkości przyjęte ustawowo wartości progowe. Proponowany mechanizm dzielenia ryzyka jest w tym zakresie nieskuteczny. Lek jest finansowany z ograniczeniami w nielicznych krajach Unii Europejskiej, wyłącznie o wysokim PKB.*

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr AOTMiT-OT-4351-44/2015 „Wniosek o objęcie refundacją produktu leczniczego Vimizim (elosulfaza alfa) w ramach programu lekowego: leczenie mukopolisacharydozy typu IV A (zespół Morquio A) (ICD-10 E76.2)”. Data ukończenia: 7 stycznia 2016r.