



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 34/2022 z dnia 11 kwietnia 2022 roku  
w sprawie oceny leku Ravicti (gliceroli phenylbutyras) w ramach  
programu lekowego: „Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu  
mocznikowego (ICD-10: E72.2)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ravicti (fenylomaślan glicerolu), płyn doustny, 1,1 g/ml, 1 butelka 25 ml + 1 nasadka, kod GTIN: 07350110580354, w ramach programu lekowego: „Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowego (ICD-10: E72.2)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości uważa za konieczne [redacted]  
[redacted] istotnie zmniejszającego koszty terapii.*

*Rada uważa, że program lekowy powinien być ograniczony do pacjentów, u których zastosowanie benzoesu sodu jest niemożliwe, ze względu na skuteczność lub nietolerancję.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Zaburzenia cyklu mocznikowego to rzadkie wrodzone choroby metaboliczne o poważnych konsekwencjach klinicznych, wynikających z hiperammonemii.*

*Produkt leczniczy Ravicti jest wskazany do stosowania przewlekłego jako terapia wspomagająca u pacjentów z zaburzeniami cyklu mocznikowego, w tym niedoborem syntetazy karbamoilofosforanowej I (ang. carbamoyl phosphate synthetase, CPS), karbamoilotransferazy ornitynowej (ang. ornit hinc carbamoyltransferase, OTC), syntetazy argininobursztynianowej (ang. argininosuccinate synthetase, ASS), liazy argininobursztynianowej (ang. argininosuccinate lyase, ASL), arginazy I (ARG) i translokazy ornitynowej (tzw. zespół hiperamonemia-hiperornitynemia - homocytrulinemia [HHH]), których nie można skutecznie leczyć tylko poprzez ograniczenie spożycia białka lub suplementację aminokwasów.*

*Produkt leczniczy Ravicti należy stosować razem z dietą ograniczającą spożycie białka, a w niektórych przypadkach z suplementacją (np. niezbędnych aminokwasów, argininy, cytruliny, suplementów kalorycznych niezawierających białek.*



### Dowody naukowe

Opierają się na heterogenicznych badaniach o niskiej jakości, w których nie było komparatora lub był nim fenylomaślan sodu. Badania te to: 1 przegląd systematyczny, 1 randomizowane badanie kliniczne typu cross-over, 3 otwarte badania kliniczne typu switch-over bez randomizacji oraz 5 badań jednoramiennych. Wykazały one, że Ravicti dość skutecznie i bezpiecznie obniża stężenie amoniaku we krwi.

### Problem ekonomiczny

Terapia [REDACTED].

Wielkość leczonej populacji jest trudna do oszacowania, z uwagi na brak krajowego rejestru. W ostatnich latach wynosiła ona blisko 100 osób rocznie.

Roczny koszt leczenia lekiem Ravicti w ramach wnioskowanego programu lekowego wyniesie [REDACTED] (zarówno z perspektywy płatnika publicznego, jak i wspólnej).

### Główne argumenty decyzji

- Skuteczna terapia w chorobie rzadkiej;
- Niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Bardzo wysokie koszty leczenia winny być obniżone w regularnej refundacji.

### **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 2021 r., poz. 523), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.4231.3.2022 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ravicti (fenylomaślan glicerolu) w ramach programu lekowego Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowego (ICD-10: E72.2)”. Data ukończenia: 31 marca 2022 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Immedica Pharma AB.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem Immedica Pharma AB 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 2016 r., poz.1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

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

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Immedica Pharma AB.