



Rekomendacja nr 50/2023

z dnia 9 października 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Welireg (belzutifan) we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau, zespół von Hippel-Lindau w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację leku Welireg (belzutifan) w zespole von Hippel-Lindau (VHL), **pod warunkiem** zastosowania u chorych z ulegającą progresji chorobą, u których nie jest możliwe ze względów klinicznych zastosowanie leczenia chirurgicznego, radykalnej radioterapii lub innych metod terapeutycznych stosowanych w leczeniu nowotworów związanych z chorobą VHL (fotokoagulacja laserowa, analogi somatostatyny, ewerolimus, sunitynib, cytostatyki). Rozpoznanie choroby VHL powinno być potwierdzone poprzez wykrycie mutacji germlinalnej VHL.

Uzasadnienie rekomendacji

Produkt leczniczy Welireg nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Unii Europejskiej. Lek został zarejestrowany w 2021 roku przez FDA i jest wskazany do stosowania u pacjentów dorosłych z zespołem von Hippel-Lindau (VHL), którzy wymagają leczenia z powodu raka nerkowokomórkowego (RCC, renal cell carcinoma), naczynek zarodkowych ośrodkowego układu nerwowego (OUN/CNS, ang. central nervous system, hemangioblastomas) lub nowotworów neuroendokrynnych trzustki (pNET, ang. pancreatic neuroendocrine tumors), które nie wymagają niezwłocznego leczenia chirurgicznego.

Choroba należy do rzadkich schorzeń, a częstość jej występowania szacowana jest na 1/53 000 urodzeń.

Wnioskowanie w analizie klinicznej opiera się na jednym badaniu jednoramiennym oceniającym skuteczność i bezpieczeństwo belzutifanu u pacjentów z nowotworami związanymi z chorobą VHL. Belzutifan wykazywał skuteczność w postaci odpowiedzi na leczenie (ORR) u pacjentów z rakiem nerkowokomórkowym i innymi guzami, w tym w obrębie trzustki i OUN. Z uwagi na fakt, że lek nie ma pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Unii Europejskiej i nie ma ustalonego wskazania do stosowania, pacjenci objęci leczeniem powinni w jak największym stopniu podlegać ocenie skuteczności i bezpieczeństwa terapii (w celu oceny stosunku korzyści do ryzyka stosowania terapii).

Chirurgia i radioterapia są podstawowymi metodami terapeutycznymi stosowanymi przy rozpoznaniu nowotworów związanych z chorobą VHL. W wytycznych klinicznych zaleca się rozważenie zastosowania belzutifanu w guzach nerki, guzach neuroendokrynnych trzustki i naczyniakach zarodkowych OUN.

Warunkiem efektywności klinicznej jest właściwie zakwalifikowanie pacjenta do terapii. Aby móc oczekiwać efektu klinicznego zgodnego z wynikami badania zaleca się rozważenie wskazania najwłaściwszej populacji na podstawie głównych kryteriów włączenia i wyłączenia do badania klinicznego.

Wg protokołu badania klinicznego, główne kryteria włączenia obejmują następujące warunki:

- 18 lat lub więcej
- rozpoznanie choroby von Hippel-Lindau na podstawie mutacji linii zarodkowej VHL
- co najmniej 1 mierzalny lity guz RCC i żaden guz RCC większy niż 3,0 cm, który wymaga natychmiastowej interwencji chirurgicznej. Rozpoznanie RCC może być radiologiczne (rozpoznanie histologiczne nie jest wymagane). Pacjenci mogą mieć guzy związane z chorobą VHL w innych układach narządów
- ECOG od 0 do 1
- funkcje narządów i szpiku (bezwzględna liczba neutrofilii $\geq 1000/\mu\text{l}$, poziom hemoglobiny $\geq 10 \text{ g/dl}$ i liczba płytek krwi $\geq 100\,000/\mu\text{l}$ bez transfuzji lub wspomaganie czynnikiem wzrostu w ciągu 2 tygodni przed uzyskaniem wartości hematologicznych podczas badań przesiewowych; Stężenie kreatyniny w surowicy $\leq 2,0 \times$ górna granica normy; AspAT i AlAT $< 2,5 \times$ ULN, bilirubina całkowita $< 1,5 \times$ ULN ($< 3 \times$ ULN u pacjentów z chorobą Gilberta) i fosfataza alkaliczna $\leq 2,5 \times$ ULN;

A główne kryteria wyłączenia obejmują następujące warunki:

- udział w innym badaniu klinicznym badanego leku w ciągu 30 dni od zapisania się do badania
- wcześniejsze leczenie PT2977 lub innym inhibitorem HIF-2 α
- przejście ogólnoustrojowej terapii przeciwnowotworowej
- radioterapia w ciągu 4 tygodni przed włączeniem do badania
- zabieg chirurgiczny z powodu choroby VHL lub jakiegokolwiek poważny zabieg chirurgiczny w ciągu 4 tygodni przed włączeniem do badania
- pilna potrzeba interwencji chirurgicznej w celu leczenia nowotworu
- wcześniejszy lub współistniejący inwazyjny nowotwór złośliwy niezwiązany z chorobą VHL z wyjątkiem odpowiednio leczonego raka podstawnokomórkowego lub płaskonabłonkowego skóry, szyjki macicy raka in situ lub innego nowotworu złośliwego, na który pacjent nie chorował od ponad 2 lat
- przerzuty w przeszłości
- złe wchłanianie z powodu wcześniejszej operacji przewodu pokarmowego lub choroby przewodu pokarmowego
- nadwrażliwość na aktywny składnik farmaceutyczny lub którykolwiek składnik preparatu

- i inne (czynna infekcja, problemy sercowe, karmienie piersią itp.).

Spełnienie ww. kryteriów może być również rozważane przy ocenie zasadności objęcia pacjenta leczeniem ocenianą technologią.

Ewentualna kontynuacja leczenia powinna być poprzedzona oceną klinicystów i potwierdzeniem uzyskania efektu klinicznego zgodnie z badaniem.

Należy także mieć na względzie, że badanie było prowadzone w niewielkiej grupie pacjentów i w krótkim okresie obserwacji (mediana 21,8 m-ca, zakres_20,2-30,1 m-ca), więc zasadne jest monitorowanie skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania ocenianej terapii, co wskazano także w warunkach powyżej.

Do rozważenia są także rekomendacje CADTH dotyczące monitorowania i zakończenia leczenia oraz monitorowania kosztów terapii (wskazanie, że lek stosuje się w monoterapii) i refundacji po najniższej możliwej cenie.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego:

- Welireg, Belzutifan, tabletki 40 mg

we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau (VHL), zespół von Hippel-Lindau (VHL) w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów, na podstawie art. 39 ust. 3 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.).

Problem zdrowotny

Choroba von Hippel-Lindau (VHL) to zespół rodzinnej predyspozycji do nowotworów związany z różnego rodzaju złośliwymi i łagodnymi guzami, najczęściej siatkówki, mózdzku oraz naczyniakiem zarodkowym rdzenia kręgowego, a także rakiem nerkowokomórkowym (RCC) i guzem chromochłonnym.

VHL spowodowana jest wysoce penetrującą mutacją genu VHL (3p25.3), klasycznego genu supresorowego. Większość przypadków rozpoznawanych jest przez mutacje germinalne.

Częstość występowania szacowana jest na 1/53 000 urodzeń, a roczna częstość występowania wynosi 1/36 000 urodzeń. Choroba w równym stopniu dotyka kobiet i mężczyzn. Średni wiek rozpoznania to 26 lat (zakres: od dzieciństwa do 7 dekad życia). Szacuje się, że u ok. 10% pacjentów mutacja występuje de novo, tj. w rodzinie choroba nie była wcześniej zdiagnozowana.

Zgodnie z wynikami badania epidemiologicznego przeprowadzonego w latach 2012-2017 (Maher 2022) stwierdzono obciążenie chorobą wynoszące 1,29 os./ 100 tys., natomiast w przypadku uwzględnienia osób potencjalnie narażonych (tj. obecność choroby u jednego z rodziców) wskaźnik wyniósł 1,46 os./ 100 tys.

Alternatywna technologia medyczna

Wyboru alternatywnych technologii medycznych dokonano na podstawie wytycznych klinicznych, opinii ekspertów oraz Obwieszczenia MZ z dnia 20 kwietnia 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 maja 2023 roku.

Potencjalne komparatory dla produktu Welireg w przebiegu zespołu VHL mogłyby stanowić:

- resekcja zmian nowotworowych (oszczędzające, z lub bez radioterapii);
- w przebiegu raka nerkowokomórkowego: pazopanib, sunitynib, kabozantynib, temsyrolimus, niwolumab+ipilimumab, aksytynib, niwolumab (mono), sorafenib, ewerolimus.
- w populacji chorych z guzami neuroendokrynnymi – analogi somatostatyny, ewerolimus, sunitynib, temozolomid (wybrane stany kliniczne), kapecytabina (wybrane stany kliniczne), 5-fluoroacyl.
- w przypadku zmian w OUN możliwe jest również stosowanie różnych metod radioterapii, jednakże dowody naukowe dotyczące ich skuteczności i bezpieczeństwa leczenia są ograniczone i heterogeniczne.

Ze względu na zróżnicowany obraz kliniczny konieczne jest dostosowanie planu leczenia do indywidualnego zapotrzebowania pacjentów.

Opis wnioskowanego świadczenia

Belzutifan jest inhibitorem czynnika indukowanego hipoksją 2 alfa (HIF-2 α), który blokuje interakcję HIF--2 α -HIF-1 β), która odpowiada za utrzymanie homeostazy tlenowej w komórkach.

Zgodnie ze wskazaniem do stosowania leku Welireg przedstawionym w ulotce do stosowania zatwierdzonej przez FDA, lek jest wskazany do stosowania u pacjentów dorosłych z zespołem von Hippel-Lindau (VHL), którzy wymagają leczenia z powodu raka nerkowokomórkowego (RCC, renal cell carcinoma), naczynek zarodkowych ośrodkowego układu nerwowego (OUN/CNS, ang. central nervous system, hemangioblastomas) lub nowotworów neuroendokrynnych trzustki (pNET, ang. pancreatic neuroendocrine tumors), które nie wymagają niezwłocznego leczenia chirurgicznego.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W analizie klinicznej uwzględniono 1 badanie jednoramienne LITESPARK-004 (Jonasch 2021, Srinivasan 2022) dotyczące leczenia 61 dorosłych pacjentów z VHL belzutifanem.

Skuteczność kliniczna

LITESPARK-004

Dla mediany czasu obserwacji wynoszącej 21,8 miesiąca (zakres: 20,2 - 30,1) stwierdzono, że łącznie 30 (49%) pacjentów z VHL i rakiem nerki (RCC) uzyskało częściową odpowiedź na leczenie (PR).

U 30 pacjentów (49%) uzyskano najlepszą odpowiedź w postaci stabilnej choroby. Dwóch pacjentów (3%) miało progresję choroby.

U większości pacjentów z VHL i rakiem nerki stwierdzono przed leczeniem rosnące guzy, natomiast po rozpoczęciu leczenia obserwowano zmniejszenie sumy największych średnic guza. Po 24 miesiącach odsetek pacjentów z przeżyciem wolnym od progresji wyniósł 96% (95%CI: 87 - 99).

Mediana czasu do odpowiedzi wynosiła 8,2 miesiąca (zakres: 2,7 - 19,1), natomiast mediana czasu trwania odpowiedzi nie została osiągnięta.

W przypadku pacjentów z guzami neuroendokrynnymi trzustki (pNET, n=22) odpowiedź na leczenie uzyskało 20 (90%) chorych, w tym 3 (14%) odpowiedź całkowitą i 17 (78%) częściową.

Mediana czasu do odpowiedzi wynosiła 5,5 miesiąca (zakres: 2,5 - 16,4), natomiast mediana czasu trwania odpowiedzi nie została osiągnięta.

U 15 (30%) chorych z naczyniakiem zarodkowym ośrodkowego układu nerwowego (n=50) odnotowano odpowiedź na leczenie, w tym całkowitą odpowiedź u 3 (6%) pacjentów, a częściową u 12 (24%). Poprawę stwierdzono u wszystkich chorych z hemangioblastomą siatkówki (16, 100%).

Dla mediany czasu obserwacji wynoszącej 37,8 mies. (zakres: 36,1 - 46,1) stwierdzono wystąpienie odpowiedzi na leczenie (ORR) u 39 (64%) pacjentów z RCC.

Bezpieczeństwo

U wszystkich pacjentów wystąpiło co najmniej jedno zdarzenie niepożądane związane z leczeniem. Do najczęstszych należały: niedokrwistość, zmęczenie, ból głowy i zawroty głowy.

Po okresie obserwacji wynoszącym 37,8 miesięcy odnotowano zdarzenia niepożądane stopnia 3. związane z leczeniem (TRAE) u 18% (n=11) pacjentów. Najczęściej występowała niedokrwistość (11%, n=7).

Zgodnie z informacjami FDA najczęstszymi działaniami niepożądanymi ($\geq 25\%$), które wystąpiły u pacjentów otrzymujących Welireg, były: zmniejszenie stężenia hemoglobiny, niedokrwistość, zmęczenie, zwiększenie stężenia kreatyniny, ból głowy, zawroty głowy, zwiększenie stężenia glukozy i nudności.

Ograniczenia analizy

Niepewność wnioskowania z przeprowadzonej analizy wynika głównie z ograniczonych dowodów na skuteczność leku – dostępne jest jedno badanie jednoramienne.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 175 926 PLN/QALY (3 x 58 642 PLN).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Zgodnie przekazanymi z danymi, do Ministerstwa Zdrowia wpłynęły 2 zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy produktu leczniczego Welireg – oba dotyczyły 1 pacjenta. Ponadto wpłynął 1 wniosek o wydanie zgody na refundację ww. produktu leczniczego (nierozstrzygnięty).

Z treści pisma zlecającego wynika, że cena produktu leczniczego Welireg, belzutifan, tabletki, 40 mg wynosi 29 754,96 USD za 90 tabletek. Jest to szacunkowa cena leku przedstawiona na stronie internetowej drugs.com, która została uwzględniona w zleceniu MZ.

Przy uwzględnieniu tej ceny roczny koszt stosowania leku u jednego pacjenta wynosi 1 529 927,14 zł.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 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.)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczania wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Wielkość populacji docelowej (średnią liczbę pacjentów leczonych w danym okresie) tj. od 9 do 16 pacjentów (lata 2023-2025) przyjęto na podstawie danych ze zlecenia MZ, danych NFZ oraz opinii eksperta.

Oszacowano, że roczny koszt importu leku Welireg wynosić będzie od ok. 13,8 mln zł (2023) do ok. 24,8 mln zł (2025).

W wariantcie maksymalnym oszacowano, że liczba chorych, którzy mogliby skorzystać z terapii belzutifanem wynosi 30 osób w roku 2023 do 53 osób w roku 2025. Wówczas roczny koszt importu leku Welireg oszacowano na ok. 45,8 mln zł (2023) i ok. 80,4 mln zł (2025).

Podkreślenia wymaga fakt, iż powyższe obliczenia mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego, głównie z uwagi na niepewne założenia co do liczby pacjentów, u których stosowanie produktu leczniczego Welireg byłoby wskazane.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono dwa dokumenty wytycznych klinicznych wydanych przez European Reference Network on Genetic Tumour Risk Syndromes (ERN GENTURIS 2022) i von Hippel Lindau disease Alliance (VHL 2022).

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi w leczeniu chorych z VHL zastosowanie mają następujące strategie terapeutyczne:

- resekcje chirurgiczne nowotworów;
- w przypadku zmian w oku - fotokoagulacja laserowa;
- aktywna obserwacja;
- w przypadku nowotworów neuroendokrynych trzustki:
 - stopnia 1-2 (Ki <10%) – analogi somatostatyny (np. oktreotyd),
 - stopnia 2 (Ki 10-20%) – ewerolimus, sunitynib, temozolomid + kapecytabina, streptozotocyna + 5-fluoroacyl,
 - stopnia 3 (Ki >20%) – karboplatyna+etopozyd, temozolomid+kapecytabina
- guzy chromochłonne – alfablokery, które mają obniżyć ciśnienie krwi + resekcja zmian.

Wytyczne zalecają rozważenie zastosowania belzutifanu w guzach nerki, guzach neuroendokrynych trzustki i naczyniakach zarodkowych OUN.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną wstępną rekomendację refundacyjną wydaną przez CADTH w 2023 roku.

CADTH zaleca refundację belzutifanu w leczeniu dorosłych pacjentów z chorobą von Hippela-Lindau (VHL), którzy wymagają leczenia z powodu raka nerkowokomórkowego bez przerzutów (RCC), naczyniaka zarodkowego ośrodkowego układu nerwowego, guzów neuroendokrynnych trzustki bez przerzutów (pNET) i nie wymagają natychmiastowej operacji. Wskazano szczegółowe warunki kwalifikacji pacjentów, w tym, że pacjenci muszą mieć dobry stan sprawności (w badaniu 0-1 wg EGOG), a terapię za pomocą belzutifanu powinni rozpocząć specjaliści posiadający doświadczenie w leczeniu nowotworów związanych z chorobą VHL. Przerwanie leczenia ustalono w przypadkach wystąpienia klinicznej lub radiologicznej progresji choroby bądź nietolerancji terapii. Ponadto w przedstawionych warunkach uwzględniono, że belzutifan należy podawać w monoterapii.

W uzasadnieniu rekomendacji zwrócono uwagę na niezaspokojoną potrzebę pacjentów z nowotworami związanymi z chorobą VHL, dla których obecnie nie są dostępne inne terapie oraz wyniki ORR i DOR uzyskane w jednoramiennym badaniu LITESPARK-004. Wskazano, że lek nie jest opłacalny (ICER powyżej progu) i wymagane jest obniżenie jego ceny.

Lek jest aktualnie w procesie oceni NICE i SMC.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.45340.120.2023.1.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Welireg (belzutifan) we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau, zespół von Hippel-Lindau w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów, na podstawie art. 39 ust. 3 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.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 50/2023 z dnia 8 maja 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego: Welireg (belzutifan) we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau, zespół von Hippel-Lindau w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 50/2023 z dnia 8 maja 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego: Welireg (belzutifan) we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau, zespół von Hippel-Lindau w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów.
2. Raport nr OT.4211.3.2023 dotyczący produktu leczniczego: Welireg (belzutifan) we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau, zespół von Hippel-Lindau w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów.