



Rekomendacja nr 74/2023

z dnia 5 lipca 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

w sprawie oceny leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa)

ramach programu lekowego:

„Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)” na zaproponowanych warunkach.

Uzasadnienie rekomendacji

W analizie klinicznej oceniono skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania awalglukozydazy alfa względem alglukozydazy alfa u uprzednio nieleczonych pacjentów z postacią późną choroby Pompego. Wnioskowanie opiera się na głównym badaniu - COMET, w którym nie wykazano wyższości awalglukozydazy alfa nad komparatorem w odniesieniu do pierwszorzędnego punktu końcowego, tj. zmiany FVC. W większości z ocenianych domen dotyczących jakości życia wg kwestionariuszy SF-12 i EQ-5D nie odnotowano różnic pomiędzy grupami leczonych chorych. Przewagę ocenianej interwencji względem alglukozydazy alfa wykazano w drugorzędowych punktach końcowych, w tym m.in. w zakresie poprawy sprawności motorycznej. Natomiast uzyskana różnica w teście 6MWT nie stanowi różnicy istotnej klinicznie. Profil bezpieczeństwa awalglukozydazy alfa i alglukozydazy alfa był porównywalny.

Przeprowadzona analiza ekonomiczna wykazała, że przy uwzględnieniu proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) oszacowany wskaźnik ICUR znajduje się [redacted] progu opłacalności. Agencja nie zgadza się z przyjętymi założeniami dotyczącymi oceny opłacalności interwencji. Bardziej wiarygodnym scenariuszem analizy jest wariant, w którym zastosowano dekrementy użyteczności stanów zdrowia zaczerpnięte z oryginalnego modelu, oszacowane na podstawie danych z Rejestru choroby Pompego, wówczas ICUR z perspektywy NFZ wynosi [redacted].

Wg prognozy Wnioskodawcy [redacted] wydatków związany z finansowaniem produktu Nexviadyme (awalglukozydaza alfa), z perspektywy NFZ, sięgnie ok.: [redacted] w drugim roku refundacji. Wynik ten zależy od stopnia przejścia udziałów w rynku.

Wytyczne postępowania medycznego zalecają stosowanie enzymatycznej terapii zastępczej (ERT) jako terapii ukierunkowanej na leczenie przyczynowe choroby Pompego. Nie wskazują jednak konkretnie na wnioskowaną technologię.

W rekomendacjach refundacyjnych pozytywnie lub pozytywnie warunkowo opiniowano finansowanie leku w analizowanym wskazaniu, zwracając uwagę na ograniczenia danych klinicznych oraz niepewność efektywności kosztowej. Natomiast w rekomendacji negatywnej podkreślono ograniczenia danych klinicznych i niepewność współczynnika ICER. Przedstawione dowody naukowe także w warunkach polskich nie rozwiewają wątpliwości dot. efektu klinicznego oraz opłacalności terapii. Biorąc pod uwagę ograniczenia oceny skuteczności klinicznej, wyniki analizy ekonomicznej i finansowej oraz związane z nimi wątpliwości, objęcie refundacją ocenianej technologii na proponowanych warunkach uznaje się za niezasadne. Pozytywne rozstrzygnięcie Agencji mogłoby być rozważane wyłącznie w przypadku zaproponowania znacząco innych warunków refundacyjnych (kwalifikacja do istniejącej grupy limitowej) i finansowych [REDAKTOWANE]

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego:

- Nexviadyme, Avalglucosidasum alfa, proszek do przygotowania koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg, 1 fiolka; GTIN: 05909991472474, cena zbytu netto: [REDAKTOWANE]

Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie w ramach programu lekowego, w nowej grupie limitowej.

Problem zdrowotny

Choroba Pompego jest spowodowana niedoborem kwaśnej alfa-glukozydazy, enzymu lizosomalnego uczestniczącego w procesie rozkładu glikogenu do glukozy. Następstwem jest nadmierne gromadzenie się glikogenu w komórkach organizmu, głównie w mięśniach szkieletowych i mięśniu sercowym.

Całkowity brak aktywności enzymu prowadzi do ciężkich zaburzeń w pierwszych miesiącach życia, obejmujących uogólnioną wiotkość i kardiomiopatię przerostową ze zwężeniem drogi odpływu z lewej komory (postać o wczesnym początku), natomiast częściowy niedobór enzymu może się ujawnić w każdym wieku nieswoistymi objawami miopatii proksymalnej (niedowład obręczowo-kończynowy) i niewydolności oddechowej, zazwyczaj bez współistniejącej kardiomiopatii (postać o późnym początku).

Choroba Pompego należy do grupy chorób rzadkich. Według danych literaturowych postaci o wczesnym początku odpowiada za nie więcej niż 20% wszystkich przypadków choroby Pompego.

Wskaźniki rozpowszechnienia schorzenia w populacji ogólnej wynoszą:

- 1:40 000 (1–9 na 100 tys.) dla obydwu postaci klinicznych,
- 1:140 000 – dla postaci niemowlęcej,
- 1:60 000 – dla postaci późnej.

W postaci o wczesnym początku, naturalny przebieg choroby bez enzymatycznej terapii zastępczej jest bardzo niekorzystny, prowadząc do zgonu w pierwszych 2 latach życia. Postać o późnym początku ma postępujący charakter i może być przyczyną przedwczesnego zgonu.

Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne oraz technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych za komparator dla wnioskowanej technologii wskazano alglukozydazę alfa (produkt leczniczy Myozyme).

Wybór uznano za zasadny. Wskazana jako alternatywna technologia jest enzymatyczną terapią zastępczą stosowaną aktualnie w programie lekowym B.22 „Leczenie choroby Pompego”.

Opis wnioskowanego świadczenia

Produkt leczniczy Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) jest wskazany w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z chorobą Pompego (niedobór kwaśnej α -glukozydazy).

Awalglukozydaza alfa jest rekombinowaną ludzką kwaśną α -glukozydazą (rhGAA), która stanowi egzogenne źródło kwaśnej alfa-glukozydazy (ang. acid alpha-glucosidase, GAA). Awalglukozydaza jest zmodyfikowaną cząsteczką alglukozydazy alfa, w której około 7 cząsteczek heksamannozy – każda zawierająca 2 końcowe reszty mannozo-6-fosforanu (bis-M6P) – jest sprzężonych z utlenionymi resztami kwasu sjałowego na alglukozydazie alfa.

Wnioskowane wskazanie to wskazanie rejestracyjne leku.

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.

Do analizy klinicznej włączono badanie randomizowane COMET (23 publikacje) porównujące skuteczność i bezpieczeństwo awalglukozydazy alfa względem alglukozydazy alfa u stu uprzednio nieleczonych pacjentów z postacią późną choroby Pompego. Badanie składało się z 49-tygodniowej fazy głównej i fazy przedłużonej, trwającej do 145 tygodnia.

Pierwszorzędownym punktem końcowym w badaniu COMET była zmiana względem wartości wyjściowej przewidywanego FVC (natężona pojemność życiowa, forced vital capacity) w 49 tyg. (%).

Ryzyko błędu systematycznego w głównym badaniu analizy, wg skali opisowej Cochrane, oceniono jako niskie we wszystkich z domen.

Nie odnaleziono przeglądów systematycznych oraz badań obserwacyjnych w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej (w uzupełnieniu włączono do analizy jeden abstrakt - Sapuppo 2022, badanie dotyczyło 4 pacjentów z wczesną postacią choroby Pompego).

W analizie uwzględniono ponadto badanie mini-COMET dotyczące chorych poniżej 18 r.ż. (wyniki badania nie zostały opublikowane w formie pełnotekstowej, liczebność pacjentów była niska, N=22) oraz badanie jednoramienne NEO1 z fazą przedłużoną NEO-EXT (badanie I fazy – ocena bezpieczeństwa leczenia i wstępna ocena skuteczności u dorosłych pacjentów, liczebność pacjentów była niska, N=24).

Skuteczność

Badanie COMET

Nie wykazano wyższości awalglukozydazy alfa nad alglukozydazą alfa w odniesieniu do I rzędowego punktu końcowego, tj. zmiany FVC (niewystarczająca moc statystyczna badania, z uwagi na zbyt mało liczną próbę).

Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy ocenianymi interwencjami w zakresie jakości życia (tj. zmiany wyniku wg SF-12 i EQ-5D).

Wykazano znamienne przewagę awalglukozydazy alfa nad alglukozydazą alfa w zakresie poprawy czynności motorycznych (w tym mierzonej m.in.: testem 6-minutowego marszu - 6MWT czy testem Quick Motor Function – QMWT).

Skuteczność praktyczna - Sapuppo 2022

U pacjentów obserwowano redukcję poziomu fosfokinazy kreatynowej (średnio o 47%), aminotransferazy asparaginowej (48%) i alaninowej (46%) oraz dehydrogenazy mleczanowej (32%) oraz kardiomiopatii przerostowej.

Dwóch pacjentów wytworzyło przeciwciała przeciwko lekowi, nie wystąpiły u nich działania niepożądane.

Bezpieczeństwo

Badanie COMET

Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie bezpieczeństwa pomiędzy awalglukozydazą alfa a alglukozydazą alfa w zakresie częstości występowania:

- zdarzeń niepożądanych ogółem,
- zdarzeń niepożądanych specjalnego zainteresowania,
- ciężkich zdarzeń niepożądanych,
- reakcji nadwrażliwości, anafilaktycznych, związanych z układem immunologicznym, związanych z wlewem,
- przerwania leczenia z powodu zdarzeń niepożądanych.

Ryzyko poszczególnych zdarzeń niepożądanych również było porównywalne pomiędzy interwencjami, a jedyne różnice dotyczyły tego, że

W grupie awalglukozydazy alfa częściej niż w grupie alglukozydazy alfa występowała grypa (OR = 5,04 [1,03; 24,64]).

ChPL Nexviadyme

Najczęściej zgłaszanymi działaniami niepożądanymi (częstość występowania >5%) były świąd (9,4%), wysypka (8%), ból głowy (7,2%), pokrzywka (6,5%), zmęczenie (6,5%), nudności (5,8%) i dreszcze (5,1%).

Reakcje nadwrażliwości zgłoszono u 43,5% pacjentów, anafilaksję u 1,4% oraz IAR u 26,1% pacjentów. Łącznie 2,9% pacjentów otrzymujących produkt leczniczy Nexviadyme w badaniach klinicznych przerwało leczenie na stałe; po 0,7% pacjentów przerwało leczenie ze względu na wystąpienie następujących zdarzeń uznanych za związane z zastosowaniem produktu leczniczego Nexviadyme: trudności w oddychaniu, dyskomfort w klatce piersiowej, zawroty głowy, kaszel, nudności, nagłe zaczerwienienie, przekrwienie oczu i rumień.

Ograniczenia

Populacją odceLOWą określoną zapisami programu lekowego jest populacja pacjentów bez ograniczeń wiekowych z chorobą Pompego, podczas gdy w głównym badaniu włączonym do analizy klinicznej – COMET, jako kryterium włączenia przyjęto wiek ≥ 3 r.ż., a jedyny zakwalifikowany do badania pacjent z grupy wiekowej <18 r.ż. miał 16 lat (średnia wieku wszystkich włączonych pacjentów – 48,1 [SD = 14,2] lat).

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[Redacted]

[Redacted]

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.

Przeprowadzono analizę użyteczności kosztów (CUA) w dożywotnym horyzoncie czasowym (60 lat), z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej NFZ i świadczeniobiorcy (pacjenta).

Awalglukozydazę alfa (produkt leczniczy Nexviadyme) porównano z alglukozydazą alfa (produkt leczniczy Myozyme).

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztów medycznych:

- koszty leków (interwencja i komparator)
- koszty podania i monitorowania terapii;
- koszty wentylacji mechanicznej;
- koszty wyrobów medycznych (wózek inwalidzki);
- koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- koszty pośrednie (analiza wrażliwości).

Inkrementalny wskaźnik użyteczności kosztów (ICUR) z perspektywy NFZ wyniósł:

Zgodnie z oszacowaniami stosowanie awalglukozydazy alfa w miejsce alglukozydazy alfa jest [redacted] [redacted] Oszacowany ICUR znajduje się [redacted] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Przy wartości ICUR oszacowanej w analizie podstawowej wartość progowa ceny zbytu netto leku (CZN), przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu wynosi [redacted]

Wyniki analizy probabilistycznej wykazały, że prawdopodobieństwo opłacalności terapii awalglukozydazy alfa w porównaniu z alglukozydazą alfa, [REDAKTOWANE]

Ograniczenia

Analizę ekonomiczną przeprowadzono dla populacji pacjentów z [REDAKTOWANE]

W ocenie Agencji bardziej wiarygodnym scenariuszem analizy jest wariant, w którym zastosowano [REDAKTOWANE]

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 2023 r. poz. 826);

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.

W opinii Agencji w ocenie wyróżnić można dwie sytuacje:

- okoliczności art. 13 ustawy o refundacji zachodzą w odniesieniu do populacji IOPD - wówczas cena progowa wynosi [REDAKTOWANE]
- okoliczności art. 13 ustawy o refundacji nie zachodzą w odniesieniu do populacji LOPD.

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 przeznaczenia 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.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy zostały przedstawione w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

W analizie uwzględniono koszty tożsame z uwzględnionymi w analizie ekonomicznej.

Wnioskodawca oszacował liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na:

- [redacted] pacjentów w I roku,
- [redacted] pacjentów w II roku.

Wyniki analizy podstawowej z perspektywy NFZ, uwzględniającej RSS wskazują, że objęcie refundacją produktu leczniczego Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) wiązać się będzie ze [redacted] wydatków płatnika publicznego o ok.:

- [redacted] w I roku,
- [redacted] w II roku refundacji.

Wyniki analizy wrażliwości były spójne co do kierunku wnioskowania z wynikami analizy podstawowej.

Ograniczenia

Populację docelową analizy wpływu na budżet stanowią pacjenci z chorobą Pompego bez względu na postać (wczesna, późna) oraz wcześniejsze leczenie (pacjenci uprzednio leczeni lub nie z zastosowaniem enzymatycznej terapii zastępczej). Nie jest to spójne z ww. założeniami analizy ekonomicznej, której wyniki mają wpływ na oszacowania BIA.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[redacted]

Uwagi do programu lekowego

Eksperti ankietowani przez Agencję proponują uwzględnienie zapisu w programie lekowym dopuszczającego zmianę enzymatycznej terapii zastępczej.

Parametry oceny efektywności wnioskowanej terapii przedstawiono w AWA (OT.423.1.12.2023).

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.

Wnioskodawca zaproponował rozwiązanie polegające na [redacted]

[redacted]

Oszacowane oszczędności w wysokości [redacted], umożliwiłyby pokrycie kosztów związanych z finansowaniem technologii wnioskowanej.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 7 rekomendacji klinicznych odnoszących się do wnioskowanego wskazania.

Rekomendowane jest stosowanie enzymatycznej terapii zastępczej (ERT) jako terapii ukierunkowanej na leczenie przyczynowe choroby Pompego. Do ERT kwalifikowani powinni być pacjenci z rozpoznaniem wczesnej postaci choroby oraz objawowi pacjenci z postacią późną.

Rekomendacje refundacyjne


Odnaleziono 4 rekomendacje refundacyjne, w tym: 1 pozytywna (HAS 2022), 2 pozytywne warunkowo (NICE 2022, CADTH 2022) i 1 negatywna (PBAC 2021).

W rekomendacji pozytywnej wskazano, że różnica korzyści do ryzyka awalglukozydazy alfa do alglukozydazy alfa była istotna w oparciu o dane z krótkich okresów obserwacji oraz że lek częściowo stanowi odpowiedź na niezaspokojone potrzeby terapeutyczne w populacji pacjentów z postacią późną choroby (HAS 2022).

W rekomendacjach warunkowych:

- zwrócono uwagę, że korzyści kliniczne oraz oszacowania efektywności kosztowej są niepewne, ale akceptowalne przy spełnieniu kryteriów umowy handlowej z uwagi na obciążenie chorobą i rzadkość jej występowania (NICE 2022),
- ograniczono populację do pacjentów z późną postacią choroby Pompego, którzy spełniają określone kryteria (pacjenci muszą być zdolni do chodzenia, nie być wcześniej leczeni alglukozydazą alfa (Myozyme) lub nie tolerować leczenia alglukozydazą alfa w trakcie pierwszego roku terapii) (CADTH 2022).

W rekomendacji negatywnej podkreślono ograniczenia danych klinicznych i niepewność współczynnika ICER.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) jest finansowany w ocenianym wskazaniu w  krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 17.04.2023 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.2337.2022), odnośnie do przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie oceny leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)” na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 73/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku w sprawie oceny leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 73/2023 z dnia 3 lipca 2023 roku w sprawie oceny leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”
2. Raport nr OT.423.1.12.2023 Wniosek o objęcie refundacją leku Nexviadyme (awalglukozydaza alfa) ramach programu lekowego: „Leczenie pacjentów z chorobą Pompego (ICD-10 E 74.0)”