



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 70/2024 z dnia 15 lipca 2024 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Agamree  
(vamorolonum) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a -  
leczenie pacjentów pediatrycznych

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a w populacji pacjentów pediatrycznych.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Ocena zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Duchenne'a (DMD), populacja pediatryczna.*

Dowody naukowe

*DMD dotyczy przeważnie chłopców, częstość 1/3 500 – 6 000 urodzeń, około 10 r.ż. chorzy tracą możliwość samodzielnego poruszania się, zgon następuje w okresie dojrzewania lub wczesnej dorosłości.*

*Wamorolon nie był przedtem przedmiotem oceny Agencji, ocena ta obecnie ma miejsce dla technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności (TLI), jej zakończenie planowane jest na koniec marca 2025 r.*

*Złoty standard farmakoterapii DMD stanowią glikokortykosterydy (GKS) zmniejszające stan zapalny, ale dokładny mechanizm działania nie jest znany. Wamorolon jest zmodyfikowanym GKS.*

*Publikacje (4): Hoffman 2019, Mah 2022, Guglieri 2022 i Dang 2024 oceniały różne parametry motoryczne przy czym istotność kliniczną wamorolonu vs. placebo/brak leczenia można rozważyć (na podstawie odnalezionych badań walidacyjnych) jedynie dla wartości 6MWT i North Star Ambulatory Assessment (NSAA).*

*Wykazano również istotną statystycznie przewagę wamorolonu nad prednizonem/prednizolonem w zakresie zmniejszenia zahamowania wzrostu u pacjentów z DMD.*

Wytyczne kliniczne (PTChNM 2009, AAN 2022, BTS 2023, WPK-PZ 2024 nie odniosły się do stosowania wamorolonu w leczeniu DMD.

Refundacja w Wielkiej Brytanii – rekomendacja negatywna, Francja (HAS) – pozytywna, ale z 70% odpłatnością dla pacjenta.

Pacjenci z DMD spowodowaną mutacją nonsensowną mogą być w Polsce leczeni atalurenem w ramach programu lekowego B.130.

#### Problem ekonomiczny

Wielkość leczonej populacji – min. 340 chorych, najbardziej prawdopodobnie 625, maksymalnie 3425 osób.

Szacunkowa cena brutto produktu Agamree, zawiesina doustna 40 mg/ml, opakowanie 100 ml, wynosi 8 083,15 euro, tj. 35 000 zł.

Roczne koszty dla płatnika publicznego wyniosłyby 300 mln zł w wariancie minimalnym, 500 mln zł w wariancie najbardziej prawdopodobnym i 2 600 mln w wariancie maksymalnym.

#### Główne argumenty decyzji

- Wamorolon we wskazaniu DMD jest obecnie w trakcie oceny Agencji dla technologii lekowej o wysokim poziomie innowacyjności - publikacja planowana jest na marzec 2025 r.
- Wamorolon jest zmodyfikowanym kortykosteroidem, ale złoty standard farmakoterapii – glikokortykosteroidy stosowane są w Polsce pozarejestacyjnie i nier refundowane.
- Terapia wamorolonem jest terapią wysokokosztową, roczny koszt na pacjenta wynosi do 766 000 zł.
- Finansowanie wamorolonu dla chorych z DMD wiąże się z szeregiem problemów organizacyjnych, wynikających z faktu, że rozpoznanie G71.0 w ICD-10 obejmuje także inne dystrofie mięśniowe. W związku z tym właściwym miejscem dla tych chorych są programy lekowe, gdyż pozwalają na zdefiniowanie precyzyjnych kwalifikacji do leczenia, przejrzyste raportowanie i możliwość audytu.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.4211.10.2024 „Agamree (vamorolonum) we wskazaniu dystrofia mięśniowa Duchenne'a - leczenie pacjentów pediatrycznych”; data ukończenia: 09 lipca 2024 r.