



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 71/2024 z dnia 15 lipca 2024 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Agamree
(vamorolonum) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Beckera

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Beckera.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Beckera (BMD), populacja pediatryczna i dorosłych, średnio do 45 r.ż., ale u wielu chorych średnia długość życia jest zbliżona do normalnej.

Dowody naukowe

Brak doniesień naukowych. Obecnie trwa rekrutacja do jednego badania klinicznego NCT05166109. Stosuje się leczenie objawowe. Możliwe jest stosowanie steroidów, ale dowody na ich skuteczność są ograniczone (FBMDWG 2023).

Problem ekonomiczny

Zakłada się, że liczba chorych wyniesie 500 – 3 425, średnia waga chorego 70 kg, maksymalna dawka na kg/mc/d 6 mg. W tej sytuacji koszt refundacji preparatu Agamree (vamorolon) dla płatnika publicznego w wariantach minimalnym wyniosłoby 800 mln zł, w wariantach najbardziej prawdopodobnym 2 200 mln zł, maksymalnym 5 500 mln zł.

Główne argumenty decyzji

- *BMD jest chorobą rzadką, vamorolon jest lekiem stosowanym w tej chorobie off-label.*
- *Roczny koszt leczenia pacjenta to ok. 1 600 000 zł.*
- *Brak badań naukowych.*

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.4211.11.2024 „Agamree (vamorolonum) we wskazaniu: dystrofia mięśniowa Beckera”; data ukończenia: 9 lipca 2024 r.