Stanowisko Rady Przejrzystości nr 128/2024 z dnia 18 listopada 2024 roku w sprawie oceny leku Voxzogo (wosorytyd) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z achondroplazją (ICD-10: Q77.4)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Voxzogo (vosoritidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,4 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,5 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462890,*
- *Voxzogo (vosoritidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,56 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,7 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462906,*
- *Voxzogo (vosoritidum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1,2 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,6 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462913,*

w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z achondroplazją (ICD-10: Q77.4)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem zastosowania mechanizmów podziałów ryzyka zabezpieczających niepewności maksymalnych wydatków płatnika, a także pozwalających na poprawę efektywności kosztowej.

Rada zgłasza następującą uwagę do projektu programu lekowego: należy precyzyjnie zdefiniować kryterium dotyczące oceny adekwatnej wydolności narządowej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 16.10.2024 r., znak PLR.4500.3686.2024.12.DGO, PLR.4500.3687.2024.10.DGO, PLR.4500.3688.2024.10.DGO (data wpływu do AOTMiT 16.10.2024 r.), Minister Zdrowia zlecił przygotowanie stanowiska Rady Przejrzystości w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego:

- *Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,4 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,5 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462890,*

- *Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 0,56 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,7 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462906,*
- *Voxzogo, Vosoritidum, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, 1,2 mg, 10 fiol. proszku + 10 amp.-strzyk. 0,6 ml rozp. + 10 igieł + 10 strzyk., GTIN: 05391524462913.*

Wnioskowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Wnioskowane wskazanie refundacyjne leku Voxzogo obejmuje leczenie pacjentów z achondroplazją w wieku co najmniej 4 miesięcy, których nasady kości długich nie są zamknięte. Rozpoznanie achondroplazji powinno być potwierdzone za pomocą odpowiedniego badania genetycznego. W dniu 24 stycznia 2013 r. Komisja Europejska przyznała status leku sierocego (EU/3/12/1094) firmie BioMarin Europe Ltd. (Wielka Brytania) zmodyfikowanemu rekombinowanemu ludzkiemu peptydowi natriuretycznemu typu C przeznaczonemu do leczenia achondroplazji. Produkt leczniczy Voxzogo jest podawany jako codzienny podskórny zastrzyk. Objętość podawanego wosorytydu w zalecanej dawce zależy od masy ciała chorego (wynosi w przybliżeniu 15-30 µg/kg mc., gdzie większa dawka jest podawana najmniejszym dzieciom). Terapii tym produktem leczniczym należy zaprzestać po potwierdzeniu braku potencjału dalszego wzrostu wskazanego przez szybkość wzrostu < 1,5 cm/rok i zamknięcie nasad kości długich. Produkt Voxzogo dostępny był w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL), natomiast od sierpnia 2023 r. znajduje się na liście produktów leczniczych niepodlegających finansowaniu w ramach procedury ratunkowego dostępu do technologii lekowych. Z danych uzyskanych od NFZ (baza SWIAD) wynika, iż w 2023 roku w ramach RDTL leczonych było 17 pacjentów z rozpoznaniem achondroplazji (ICD-10: Q77.4) Jednocześnie pacjenci, którzy rozpoczęli leczenie przed dniem obowiązywania wykazu, mają prawo do kontynuacji leczenia pod warunkiem udowodnienia skuteczności dotychczasowego leczenia.

Dodatkowo, zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 13 marca 2023 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (Dz.U. 2023 poz. 870 z późn. zm.) w ramach przedmiotowego wskazania (ICD-10: Q77.4) możliwe jest wykonanie refundowanego zabiegu operacyjnego z wykorzystaniem procedur ICD-9 w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu lecznictwa szpitalnego:

- *78.323 Metoda rozciągania z lub bez kortykotomii/ostotomii - kość promieniowa/kość łokciowa;*
- *78.325 Metoda rozciągania z lub bez kortykotomii/ostotomii - kość udowa/miednica;*

- *78.327 Metoda rozciągania z lub bez kortykotomii/ostotomii - kość piszczelowa/kość strzałkowa.*

Achondroplazja jest to rzadka, postępująca i trwająca całe życie choroba o podłożu genetycznym, charakteryzująca się upośledzonym kostnieniem śródchrzęstnym oraz objawiająca się nieproporcjonalnie ograniczonym i skrajnie niskim wzrostem.

Cechy kliniczne achondroplazji obejmują nieproporcjonalny niski wzrost, rizomeliczne skrócenie kończyn (skrócenie proksymalnych części ciała), makrocefalię z wypukłością czołową, hipoplazję środkowej części twarzy, mniejszą niż przeciętna klatkę piersiową, kifozę piersiowo-lędźwiową, lordozę lędźwiową, nadmierną ruchomość stawów (przy ograniczonym wyproście oraz rotacji łokcia i biodra, pomimo ogólnej wiotkości biodra), wygięcie kości piszczelowej oraz brachydaktylię.

Achondroplazja prowadzi do wielu powikłań w zakresie funkcjonowania chorych na różnych etapach życia. Typowe powikłania są bezpośrednio związane z nieprawidłowym rozmiarem i kształtem kości lub są ich wtórnymi objawami nieprawidłowego rozmiaru i kształtu kości. Ponadto, zaburzenia wzrostu między kością endochondralną, a leżącymi pod nią narządami prowadzą do szeregu problemów ortopedycznych, neurologicznych, oddechowych, laryngologicznych i stomatologicznych, które mają wpływ na chorych przez całe ich życie.

Ucisk szyjno-czaszkowy i obturacyjny bezdech senny są stanami zagrażającymi życiu oraz głównymi czynnikami przyczyniającymi się do wyższego odsetka nagłych zgonów wśród niemowląt. Śmiertelność w populacji chorych na achondroplazję jest wyższa w porównaniu z dziećmi o średnim wzroście i wynosi około 4,0-7,8% w pierwszych 2 latach życia. Chociaż zwiększone ryzyko zgonu z powodu achondroplazji jest najwyższe u najmłodszych osób, śmiertelność jest wyższa we wszystkich grupach wiekowych w porównaniu z osobami o średnim wzroście. Amerykańskie badania wskazują na krótszą o 10 - 15 lat ogólną średnią długość życia w porównaniu z populacją ogólną.

Niemowlęta i małe dzieci doświadczają opóźnień w zakresie osiągania kamieni milowych w rozwoju, w tym motoryki dużej, motoryki małej, komunikacji i karmienia. W wieku siedmiu lat wiele dzieci z achondroplazją nadal wymaga pomocy opiekuna w zakresie podstawowej samoopieki, w tym ubierania/rozbierania, toalety, kąpieli i pielęgnacji, a niektóre dzieci nadal wymagają nadzoru w otoczeniu społecznym.

U dorosłych chorych najczęściej występuje przewlekły ból (u 64% chorych), który u 70% dorosłych chorych z achondroplazją nie ustępuje nawet po laminektomii lędźwiowej. Częstość występowania objawowego zwężenia kręgosłupa wynosi około 20% u osób w wieku 20 lat i 80% w wieku 60 lat. Zwężenie kręgosłupa może prowadzić do uszkodzenia rdzenia kręgowego.

<u>Dowody naukowe</u>

Większość odnalezionych wytycznych zawiera przede wszystkim zalecenia dotyczące kompleksowego modelu opieki i wsparcia dla pacjentów z achondroplazją (AWMF 2023, Tofts 2023, Maghnie 2023, EAF 2022), a także w zakresie edukacji włączającej i socjalizacji (SBP 2023). Ze względu na trwały, głęboki oraz doświadczany przez całe życie wpływ choroby na wszystkie obszary funkcjonowania osób z achondroplazją wytyczne zalecają zapewnienie takim osobom zintegrowanej opieki wielospecjalistycznej realizowanej przez interdyscyplinarny zespół terapeutyczny doświadczony w leczeniu achondroplazji i dysplazji szkieletowych (Tofts 2023, Maghnie 2023, EAF 2022).

W brazylijskich wytycznych wosorytyd uznaje się za skuteczny i bezpieczny w leczeniu niskorosłości u pacjentów z achondroplazją szczególnie tych, którzy wcześnie rozpoczęli leczenie, aczkolwiek wosorytyd w tym kraju został dopuszczony do stosowania u dzieci z achondroplazją w wieku ≥ 2 lat (SBP 2023). Wosorytyd został wymieniony w niemieckich wytycznych jako jedyna opcja leczenia przyczynowego achondroplazji u dzieci (AWMF 2023).

Wytyczne australijskie wskazują na prowadzone badania kliniczne dla kilku terapii lekowych ukierunkowanych na leczenie achondroplazji, m.in. dla wosorytydu, niemniej jednak informacja na temat wosorytydu nie została ujęta w formie zalecenia (Tofts 2023). Z kolei autorzy wytycznych międzynarodowych odnotowują pojawiające się nowe, precyzyjne terapie achondroplazji podkreślając konieczność rewizji przedmiotowych wytycznych w celu uwzględnienia nowych doniesień naukowych i wdrożenia najlepszych praktyk postępowania terapeutycznego u osób z achondroplazją (ICS 2022). Podobnie w wytycznych brazylijskich podkreśla się potrzebę przeprowadzenia dalszych badań z wczesnym rozpoczęciem leczenia wosorytydem w zakresie poprawy możliwości leczenia także innych objawów achondroplazji (dysproporcja kończyn, zwężenie kanału wielkiego) (SBP 2023).

Wytyczne międzynarodowe oraz południowoamerykańskie wskazują na zalecenia w zakresie leczenia chirurgicznego niskorosłości, stenozy kanału wielkiego czaszki, obturacyjnego bezdechu sennego, kolana szpotawego, dysfunkcji ucha środkowego (Llerena 2022, ICS 2022), stenozy kręgosłupa, opóźnienia rozwojowego, leczenia w zakresie ortodoncji i chirurgii twarzowo-szczękowej (ICS 2022), leczenia wodogłowia u osób z achondroplazją (Llerena 2022) oraz leczenia przeciwbólowego (SBP 2023). Autorzy wytycznych międzynarodowych wskazują na brak konsensusu w literaturze na temat leczenia chirurgicznego niskorosłości osób z achondroplazją z wykorzystaniem zabiegu wydłużania kończyn (ICS 2022). Z kolei autorzy wytycznych południowoamerykańskich oraz brazylijskich podkreślają kontrowersyjność wskazań do przeprowadzenia takiego zabiegu (Llerena 2022, SBP 2023).

W toku wyszukiwania wytycznych klinicznych odnaleziono konsensus Australijskiej Grupy Roboczej ds. wosorytydu (ang. Australian Vosoritide Working Group, AVWG 2024) zawierający zalecenia dotyczące optymalnego stosowania wosorytydu u dzieci z achondroplazją w Australii [Tofts 2024]. Odnaleziono również informację o przygotowywanym opracowaniu NICE nt. zastosowania wosorytydu w leczeniu achondroplazji u dzieci i młodzieży poniżej 18 lat (NICE 2024 (tbc)).

W ramach włączonych do analizy badań z randomizacją RCTs (111-206 i 111-301) porównywano skuteczność i bezpieczeństwo WOS względem PLC w populacji pediatrycznej pacjentów z potwierdzoną genetycznie achondroplazją: badanie 111-301 od 5 r.ż. do <18 r.ż., badanie 111-206 pacjentów od 3 do 59 mies. życia. Oba RCTs stanowią wieloośrodkowe, podwójnie zaślepione, kontrolowane placebo próby kliniczne, odpowiednio fazy 3 i 2, z okresem obserwacji i leczenia pacjentów wynoszącym 52 tygodnie. Ocena wiarygodności RCT wg narzędzia RoB-2 wskazuje na niskie ryzyko błędu systematycznego.

Badania charakteryzowały się niską liczebnością badanej próby (111-206: N=64 pacjentów poddanych randomizacji; n=32 w ramieniu WOS i n=32 w ramieniu PLC; 111-301: N=121 pacjentów poddanych randomizacji, N=60 w grupie WOS, N=61 w grupie PLC). Z uwagi na specyfikę problemu zdrowotnego nie traktuje się powyższego jako istotnego ograniczenia metodycznego.

Analiza danych dla bezpieczeństwa wskazuje, że w czasie 52 tygodni obserwacji w obu grupach badania 111-301 nie wystąpił żaden przypadek zgonu. Również w fazie przedłużonej badania nie odnotowano żadnego przypadku zgonu. Z kolei w badaniu 111-206 w okresie 52 tygodni obserwacji wystąpił jeden przypadek zgonu w grupie wosorytydu (WOS).

Zarówno w badaniu 111-301 jak i 111-206 nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie częstości występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych. W badaniu 111-301 ciężkie zdarzenia niepożądane (SAE) raportowano łącznie u 7 chorych (3 w grupie WOS i 4 w grupie placebo - PLC). Żadne z ciężkich zdarzeń niepożądanych nie zostało uznane przez badacza za związane z badanym lekiem. W najdłuższym, dostępnym okresie obserwacji (badania 111-301 i 111-302; data odcięcia danych: [redacted] wystąpienie SAE raportowano u 22 (18,5%) chorych. Ciężkie zdarzenia niepożądane związane z badanym lekiem wystąpiły jedynie u 2 chorych, natomiast SAE prowadzące do przerwania leczenia – u 1 chorego. W badaniu 111-206 SAE raportowano łącznie u 9 chorych (3 w grupie chorych randomizowanych do WOS i 6 w grupie PLC) – brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami.

W obu RCTs (111-301, 111-206) nie odnotowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami w odniesieniu do częstości występowania zdarzeń niepożądanych specjalnego zainteresowania (AESI), tj. złamania. W badaniu 111-301 złamanie wystąpiło wyłącznie u jednego pacjenta z grupy WOS. W badaniu

111-206 złamanie raportowano wyłącznie u jednego chorego w grupie placebo. Nie odnotowano przypadków wystąpienia jałowej martwicy kości udowej, młodzieńczego złuszczenia głowy kości udowej, reakcji nadwrażliwości o ≥3 stopniu nasilenia ani anafilaksji. Reakcje w miejscu wstrzyknięcia, ISR o ≥2 stopniu nasilenia raportowano u 2 chorych w fazie przedłużonej badania (111-301 i 111-302). Należy podkreślić, że w badaniu 111-301 (oraz fazie przedłużonej 111-302) raportowano wyłącznie TEAE specjalnego zainteresowania (AESI).

Zdarzenia niepożądane zaistniałe w czasie trwania leczenia (TEAE) raportowano u wszystkich lub niemal wszystkich pacjentów w badaniach 111-301 i 111-206 (brak istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami). Podobnie w fazie przedłużonej badania (111-208) TEAE wystąpiły niemal u wszystkich badanych. Na podstawie wyników badań 111-301 i 111-302, stwierdzono występowanie TEAE związanych z badanym lekiem u 37 (31%) pacjentów, natomiast TEAE o ≥ 3 stopnia nasilenia – u 20 (17%) chorych. Zarówno w badaniu 111-301 jak i 111-206 wśród TEAE w grupie WOS istotnie częściej raportowano reakcje w miejscu wstrzyknięcia. Ponadto, na podstawie wyników badania 111-301 istotnie częściej w grupie WOS obserwowano obrzęk w miejscu wstrzyknięcia, pokrzywkę w miejscu wstrzyknięcia, natomiast na podstawie wyników 111-206 – rumień w miejscu wstrzyknięcia, stwardnienie w miejscu wstrzyknięcia. W badaniu 111-206 istotnie częściej raportowano wymioty w grupie pacjentów otrzymujących placebo.

Autorzy badania wtórnego Murton 2023 wskazują, że do najczęstszych zdarzeń niepożądanych podczas stosowania wosorytydu zaliczono reakcje związane z podaniem leku. Większość obserwowanych zdarzeń niepożądanych (AE) miała nasilenie łagodne.

Wyniki dostępnych prób klinicznych interpretuje się przy uwzględnieniu niezaspokojonej potrzeby pacjentów z achondroplazją – brak dostępnych opcji leczenia (poza inwazyjną, bolesną metodą wydłużania kości kończyn). Badania RCTs wskazują na korzyści w zakresie parametrów wzrostu tj. AGV, współczynnik Z-score wzrostu w populacji pediatrycznej. Wykazana znamienna statystycznie poprawa w zakresie AGV na korzyść wosorytydu względem placebo w badaniu 111-301 (pacjenci od 5 do < 18 r.ż.) była spójna we wszystkich wstępnie zdefiniowanych, analizowanych podgrupach. W odniesieniu do wyników AGV w grupie młodszych pacjentów (badanie 111-206) należy podkreślić, że największą korzyść w grupie WOS względem PLC osiągnięto w Kohorcie 1, obejmującej dzieci w wieku ≥24 do <60 mies. Ponadto, wyniki z badania 111-301/302 w zakresie punktów końcowych odnoszących się do wzrostu wskazują na potencjalne korzyści z zastosowania wosorytydu względem populacji dzieci zdrowych, jak również względem chorych nieleczonych.

Biorąc pod uwagę przebieg choroby, jaką jest achondroplazja, poza bezpośrednią korzyścią jaką niesie ze sobą zwiększenie wzrostu (mniejsza dyskryminacja,

lepsza samoocena chorych), ważnym elementem jest poprawa w zakresie innych parametrów tj. jakość życia, czy złagodzenie powikłań dotykających pacjentów z achondroplazją.

W związku ze skutecznością terapii WOS w zakresie poprawy wzrostu chorych potencjalnie można spodziewać się pozytywnego wpływu badanej interwencji na jakość życia chorych. Dane z fazy przedłużonej badania 111-302 dla 3-letniego okresu obserwacji mogą sugerować korzyści w zakresie poprawy jakości życia (zmiana wyniku wg kwestionariuszu QoLISSY względem wartości początkowych) w subpopulacji pacjentów uzyskujących poprawę w zakresie parametru wzrostu Z-score względem chorych ogółem. Dostępne dane obarczone są niepewnością – wskazuje się na potrzebę dalszych badań dla potwierdzenia efektów długoterminowych leczenia. Aktualnie, dostępne dane kliniczne umożliwiające wnioskowanie nt. wpływu wosorytydu na złagodzenie powikłań związanych z achondroplazją są ograniczone.

Wosorytyd jest pierwszą terapią lekową ukierunkowaną na przyczynę choroby, która posiada akceptowalny profil bezpieczeństwa. Do najczęstszych zdarzeń niepożądanych, jakie wystąpiły podczas stosowania wosorytydu, zaliczono reakcje miejscowe związane z podaniem leku, większość obserwowanych AE miała nasilenie łagodne oraz była przemijająca.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Voxzogo jest finansowany w 18 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na wysoki stosunek korzyści klinicznych (skuteczność) względem bezpieczeństwa produktu leczniczego, umiarkowaną korzyść kliniczną (CAV III) w ścieżce terapeutycznej populacji pacjentów z achondroplazją w porównaniu z dotychczasowym postępowaniem medycznym (HAS 2021), brak dostępnych alternatywnych form terapii achondroplazji, niezaspokojoną potrzebę medyczną w leczeniu achondroplazji, w przypadku której jedynym dotychczas postępowaniem terapeutycznym było leczenie objawowe (HAS 2021, PBAC 2022), znaczną poprawę skuteczności w porównaniu z BSC w przypadku niektórych pacjentów z achondroplazją, wysoką dodatkową wartość terapeutyczną związaną z dostępem do wosorytydu (PBAC 2022), istotne korzyści kliniczne w zakresie zwiększenia szybkości wzrostu u dzieci z achondroplazją w wieku co najmniej 2 lat nie wpływające na śmiertelność i ogólną jakość życia (G-BA 2024) oraz niewymierne dodatkowe korzyści ze stosowania wosorytydu względem najlepszego leczenia wspomagającego (BSC) u pacjentów z achondroplazją w wieku od ≥4 miesięcy do <2 lat oraz w wieku co najmniej 2 lat, u których nasady kości długich nie są zamknięte (G-BA 2024, G-BA 2024a).

W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na ograniczoną ilość danych klinicznych, bardzo wysoki koszt, znaczący wpływ na budżet, brak wykazania efektywności kosztowej wosorytydu (NCPE 2023), wysoki poziom

niepewności niektórych parametrów w dokumentacji producenta leku, przekroczenie akceptowalnego progu opłacalności niezależnie od ciężkości choroby oraz wysoką niepewność analiz głównie z powodu braku rozstrzygających dowodów ustanawiających wyraźny związek między wzrostem a jakością życia związaną ze zdrowiem oraz powikłaniami (TLV 2023).

W 1 rekomendacji wskazano rekomendowane warunki objęcia refundacją ocenianej terapii. Rekomendacje włoskie przewidują możliwość pełnej refundacji wosorytydu wyłącznie pod warunkiem jego wydawania w szpitalu i pod specjalistycznym nadzorem (AIFA 2023).

Problem ekonomiczny

Wg danych otrzymanych z bazy SWIAD, w 2022 i 2023 roku odpowiednio 4 i 17 pacjentów z achondroplazją otrzymywało leczenie w RDTL.

Uzyskane wyniki CUA wskazują na brak efektywności kosztowej terapii z wykorzystaniem wosorytydu. Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy, stosowanie wosorytydu w miejsce BSC jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania WOS vs BSC z perspektywy płatnika publicznego (tożsamej z perspektywą wspólną) wyniósł 1 069 650,40 zł/QALY (dla wszystkich wnioskowanych prezentacji leku). Wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

Analiza ekonomiczna posiada ograniczenia metodyczne, wynikające głównie z ograniczeń dostępnych danych. Kluczowym źródłem niepewności w modelu jest powiązanie zwiększania rocznej szybkości wzrostu z uzyskiwanym efektem klinicznym obserwowanym u chorych. Podejście to było również kwestionowane w zagranicznych procesach refundacyjnych.

Przyjęto 2-letni horyzont czasowy analizy wpływu na budżet płatnika, co w kontekście kontynuowania terapii przez kilkanaście lat jest niewystarczające.

Według oszacowań wnioskodawcy objęcie refundacją leku Voxzogo w populacji wnioskowanej z perspektywy płatnika publicznego będzie związane ze wzrostem nakładów w wysokości 142,12 mln PLN w I roku analizy oraz 177,49 mln PLN w II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej (wariant prawdopodobny).

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba zdrowotna.*
- *Wosorytyd jest pierwszą terapią lekową, która jest umiarkowanie skuteczna i posiada akceptowalny profil bezpieczeństwa.*
- *Nieakceptowalny koszt terapii, który wymaga propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.*

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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: WS.423.4.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Voxzogo (wosorytyd) w ramach programu lekowego: »Leczenie pacjentów z achondroplazją (ICD-10: Q77.4)«"; data ukończenia: 7.11.2024 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BioMarin International Limited).*

***Zakres wyłączenia jawności**: dane objęte oświadczeniem BioMarin International Limited 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 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art.. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)[1] i art. 35a 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 z późn. zm.)[2].*

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

***Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności**: BioMarin International Limited.*

---

[1] podstawa prawna zakreśleń danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu 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 z późn. zm.)

[2] podstawa prawna zakreśleń w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu 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 z późn. zm.)