



Rekomendacja nr 140/2026

z dnia 18 września 2026 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Vyjuvek
(beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego:
„Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka
(ICD-10: Q81.2)”**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego: „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)” **pod warunkiem** obniżenia ceny leku co najmniej do uzyskania opłacalności kosztowej, a także wprowadzenia mechanizmu RSS zabezpieczającego wydatki NFZ (CAP) oraz wprowadzenia mechanizmu polegającego na zwrocie pełnych kwot refundacji w przypadku braku skuteczności terapii w czasie pierwszej oceny skuteczności - po 6 miesiącach (definiowanej zgodnie z proponowanymi kryteriami wyłączenia z programu lekowego) lub wystąpienia działań niepożądanych uniemożliwiających kontynuację leczenia.

Uzasadnienie

Oceniany wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach nowego programu lekowego: „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”. Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem zarejestrowanym. Głównym kryterium kwalifikacji do programu jest rozpoznanie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka, z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) na podstawie testów genetycznych.

Beremagene geperpavec jest to terapia genowa oparta na zmodyfikowanym, niezdolnym do replikacji wirusie opryszczki pospolitej typu 1 (HSV-1) zawierającym gen COL7A1. Produkt leczniczy jest w postaci żelu przeznaczonego do miejscowego stosowania na rany.

Komparatorem dla ocenianej interwencji jest najlepsze leczenie wspomagające (ang. best supportive care, BSC) rozumiane jako brak leczenia przyczynowego.

Analiza skuteczności i bezpieczeństwa opiera się głównie na badaniu RCT GEM-3 (Guide 2022, N=31, okres obserwacji 26 tyg.), w którym u każdego chorego porównywano ranę leczoną beremagene geperpavec (B-VEC) z raną kontrolną poddaną działaniu placebo; równolegle stosując standardowe leczenie wspomagające (BSC). Ponadto dostępne są wyniki jednoramiennego badania OLE (Marinkovich 2025, N=47, okres obserwacji do 112 tyg.) - kontynuacja badania GEM-3 (N=24) + pacjenci wcześniej nieleczeni (N=23). W badaniu GEM-3 zastosowanie B-VEC wiązało się z istotnym statystycznie wyższym odsetkiem całkowicie zagojonych ran w porównaniu z placebo zarówno w okresie 3, jak i 6 miesięcy terapii. Odpowiednio 70,6% vs. 19,7% ($p < 0,001$) oraz 67,4% vs. 21,6% ($p = 0,002$). Wyniki fazy przedłużonej badania były spójne z wynikami badania GEM-3.

Włoskie wytyczne kliniczne El Hachem 2025 wymieniają miejscową terapię genową w postaci żelu zawierającego gen COL7A1 (beremagene geperpavec) jako dodatkową opcję terapeutyczną w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka. Spośród trzech odnalezionych rekomendacji refundacyjnych dwie są pozytywne, wskazując na dodatkową korzyść kliniczną ocenianej interwencji i jej innowacyjność. Produkt leczniczy Vyjuvek był przedmiotem oceny Agencji w ramach wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI), w wyniku której został uwzględniony w wykazie opublikowanym przez Agencję 10 marca 2026 r. (ostatecznie nie znalazł się na liście opublikowanej przez Ministra Zdrowia).

Należy zwrócić uwagę na brak danych długoterminowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa beremagene geperpavec, w tym danych w zakresie długoterminowej immunogenności. Jak wskazano w ChPL wpływ serokonwersji (rozwoju przeciwciał przeciwko wektorowi wirusowemu HSV-1)

na utrzymywanie się efektu leczenia beremagene geperpavec jest nieznany, ponieważ brak jest danych po okresie 26 tygodni. W związku z tym Agencja podkreśla konieczność szczególnego monitorowania skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej terapii.

Wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że wnioskowana technologia jest nieopłacalna kosztowo. Zgodnie z analizą wpływu na budżet refundacja ocenianej interwencji będzie wiązała się ze wzrostem wydatków płatnika publicznego o ok. 55,0 mln PLN w I roku refundacji oraz ok. 78,0 mln PLN w II roku refundacji. Biorąc pod uwagę niepewność oszacowań dotyczących populacji, wysoki koszt terapii, przewlekłość stosowania i możliwość ponownego włączania pacjentów do programu, dodatkowe wydatki płatnika mogą być znacznie wyższe.

Uwzględniając wyniki przeprowadzonych analiz, niezaspokojoną potrzebę zdrowotną, innowacyjność terapii, brak efektywności kosztowej oraz znaczne obciążenie budżetu płatnika publicznego przy niepewnościach dotyczących wielkości populacji docelowej, a także stanowisko Rady Przejrzystości, Prezes Agencji rekomenduje finansowania produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) na warunkach określonych w sentencji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego: Vyjuvek (beremagene geperpavec) zawiesziny i podłoże żelowe do sporządzania żelu, PFU/ml, 1 fiolka 1 ml zawiesziny + 1 fiol. 1,5 ml żelu, GTIN: 0415019787729, proponowana cena zbytu netto: [redacted]; wydawanego bezpłatnie w programie lekowym „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”, w ramach nowej grupy limitowej.

Problem zdrowotny

Dystroficzne pęcherzowe oddzielanie się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) jest ciężką, ultraradką chorobą genetyczną spowodowaną mutacjami w genie COL7A1 kodującym kolagen typu VII. Choroba może być dziedziczona autosomalnie dominująco (ang. dominant dystrophic epidermolysis bullosa, DDEB) lub recesywnie (ang. recessive dystrophic epidermolysis bullosa, RDEB). Objawy występują zwykle od urodzenia i obejmują nawracające uszkodzenia, pęcherze oraz bliznowacenie skóry i błon śluzowych, w tym jamy ustnej, przełyku, układu moczowo-płciowego oraz narządu wzroku.

W Polsce w 2023 roku na pęcherzowe oddzielanie naskórka chorowało 100 osób, z czego 70 stanowiły dzieci i młodzież. Roczna liczba nowych zachorowań w Polsce w przypadku RDEB szacowana jest na 1/50 000 urodzeń.

DEB wiąże się z występowaniem licznych powikłań. U noworodków rozległe uszkodzenia skóry zwiększają ryzyko zgonu z powodu zakażeń, natomiast w dalszym przebiegu choroby mogą prowadzić m.in. do zahamowania wzrostu, utraty wzroku czy niewydolności nerek.

Rokowanie zależy od podtypu choroby. RDEB wiąże się z wysokim ryzykiem rozwoju raka płaskonabłonkowego skóry (ang. squamous cell carcinoma, SCC), szacowanym na ok. 75%, oraz istotną śmiertelnością – blisko 10% pacjentów umiera przed 10. rokiem życia, a 72% nie dożywa 30. roku życia. Pacjenci z DDEB zazwyczaj osiągają długość życia zbliżoną do populacji ogólnej.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi, leczenie chorych z DEB opiera się na interdyscyplinarnym podejściu, które koncentruje się na pielęgnacji ran, łagodzeniu dolegliwości związanych ze swiędzem i bólem oraz postępowaniu przeciwniekcyjnym. Zgodnie z opinią ekspertów aktualnie stosowaną alternatywną technologię medyczną stanowią przede wszystkim opatrunki oraz postępowanie zgodne z zaleceniami Polskiego Towarzystwa Leczenia Ran (PTLR).

Komparator wybrany przez wnioskodawcę stanowi najlepsze leczenie wspomagające (BSC) rozumiane jako brak leczenia przyczynowego. Biorąc pod uwagę charakter choroby, aktualnie refundowane opcje terapeutyczne obejmujące min. opatrunki oraz leki przeciwbólowe, a także brak dostępnego leczenia przyczynowego, wybór BSC jako komparatora należy uznać za zasadny.

Opis wnioskowanego świadczenia

Produkt leczniczy Vyjuvek (beremagene geperpavec) jest to terapia genowa oparta na zmodyfikowanym, niezdolnym do replikacji wirusie opryszczki pospolitej typu 1 (HSV-1) zawierającym gen COL7A1. Po nałożeniu na skórę w obszarze rany beremagene geperpavec może transdukować zarówno keratynocyty, jak i fibroblasty. Po wnikięciu do jądra komórek inicjowana jest transkrypcja kodowanego

ludzkiego genu COL7A1, a następnie wytwarzanie i wydzielanie przez komórkę białka COL7. Częsteczki COL7 tworzą włókna zakotwiczące, łączące ze sobą naskórek i skórę właściwą, niezbędne do utrzymania integralności skóry.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem zarejestrowanym. Głównym kryterium kwalifikacji do leczenia beremagene geperpavec w ramach proponowanego programu lekowego jest rozpoznanie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka, z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) na podstawie testów genetycznych.

Zgodnie z zapisami uzgodnionego projektu programu lekowego terapia stosowana jest do czasu zamknięcia leczonej rany (tj. okres co najmniej 2 tygodni), po czym możliwe jest leczenie nowych ran lub do momentu osiągnięcia adekwatnej odpowiedzi na leczenie. W przypadku ponownego otwarcia się wcześniej leczonych ran należy powtórzyć kurację. W przypadku nawrotu aktywnej postaci choroby lub w celu podtrzymania remisji, leczenie może być wznowione, w oparciu o ponowne spełnienie kryteriów kwalifikacji do leczenia w programie.

Produkt leczniczy Vyjuvek był przedmiotem oceny Agencji w ramach wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI), w wyniku której został uwzględniony w wykazie opublikowanym przez Agencję 10.03.2026 r. (ostatecznie nie znalazł się na Liście technologii o wysokim poziomie innowacyjności z 11.06.2026 r. opublikowanej przez Ministra Zdrowia).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączyło dwa badania pierwotne dotyczące ocenianej interwencji:

- badanie RCT GEM-3 (Guide 2022, N=31, okres obserwacji 26 tyg.), w którym u każdego chorego porównywano ranę leczoną beremagene geperpavec (B-VEC) z raną kontrolną poddaną działaniu placebo (PLC), równolegle stosując standardowe leczenie wspomagające (BSC);
- jednoramiennie badanie OLE (Marinkovich 2025, N=47, okres obserwacji do 112 tyg.) - kontynuacja badania GEM-3 (N=24) + pacjenci wcześniej nielečení (N=23).

W wyniku przeglądu opracowań wtórnych do analizy włączono trzy przeglądy systematyczne: Wang 2025, Danescu 2024, Pabón-Carrasco 2024.

Ponadto analitycy Agencji w ramach uzupełnienia analizy o dane dotyczące skuteczności praktycznej (ang. Real-World Evidence, RWE) przedstawili opis serii przypadków Brena 2026 (N=3).

Skuteczność

W badaniu GEM-3 zastosowanie B-VEC wiązało się z istotnym statystycznie wyższym odsetkiem całkowicie zagojonych ran w porównaniu z placebo zarówno w okresie 3, jak i 6 miesięcy terapii. Odpowiednio 70,6% vs. 19,7% ($p<0,001$) oraz 67,4% vs. 21,6% ($p=0,002$).

Analiza post hoc obejmowała ocenę utrzymywania się odpowiedzi terapeutycznej, zdefiniowaną jako całkowite zamknięcie rany zarówno po 3, jak i po 6 miesiącach, która wystąpiła w 49,7% ran poddanych działaniu preparatu B-VEC oraz w 7,1% ran, w których zastosowano placebo. Różnica pomiędzy grupami była istotna statystycznie ($p=0,002$).

Wykazano korzystniejszy wpływ ocenianej interwencji na redukcję bólu ocenianą wg skali VAS (ang. Visual Analogue Scale) podczas zmiany opatrunków w porównaniu z wartością początkową niż w grupie placebo, jednak przy stosunkowo niewielkiej wielkości efektu. Różnice średnich obliczonych metodą LS (ang. least squares) pomiędzy B-VEC a PLC dla wyników zmiany nasilenia bólu rany względem wartości wyjściowej były istotne statystycznie w 22. tyg. ($p=0,016$), a nie osiągnęły istotności w tyg. 24. ($p=0,058$) i 26. ($p=0,072$).

Po 6 miesiącach leczenia u większości chorych obserwowano poprawę lub brak pogorszenia jakości życia wg kwestionariusza EQ-5D-5L, natomiast wyniki Skindex 29 pozostawały na ogół stabilne względem wartości wyjściowych. Interpretację wyników ograniczał krótki okres obserwacji oraz brak możliwości leczenia wszystkich ran przy użyciu B-VEC.

Obecność przeciwciał anti-HSV-1 stwierdzono u 64% pacjentów z grupy B-VEC (14/22), a przeciwciała przeciwko kolagenowi typu VII wykryto wyjściowo u 1 chorego. Wśród chorych, których próbki były dostępne zarówno na początku badania, jak i w 26. tygodniu ($n=19$) przeciwciała anti-HSV-1 wykryto u 75% pacjentów, a serokonwersja przeciwko kolagenowi typu VII wystąpiła u 72% chorych, którzy byli seronegatywni na początku badania.

Zgodnie z wynikami otwartej fazy przedłużonego badania klinicznego (OLE) wśród chorych kontynuujących terapię B-VEC całkowite zamknięcie ran obserwowano u 61,1% do 84,2% pacjentów

w kolejnych punktach oceny przeprowadzanych po 3, 6, 9 i 12 miesiącach leczenia, co było spójne z wynikami badania GEM-3.

W badaniu obserwowano poprawę jakości życia do 104. tygodnia, wyrażoną wzrostem wyniku EQ-VAS oraz spadkiem wyniku całkowitego kwestionariusza Skindex 29. Należy jednak zauważyć, że interpretację wyników ogranicza przedwczesne zakończenie badania oraz mała liczba ocen w późniejszym okresie obserwacji. Pomimo obserwowanej poprawy, nasilenie objawów oceniane za pomocą Skindex 29 nadal odpowiadało ciężkiemu przebiegowi choroby.

Dowody dotyczące skuteczności praktycznej są ograniczone. Opis serii przypadków Brena 2026 wskazuje na skuteczność miejscowego leczenia B-VEC stosowanego raz w tygodniu u trojga pacjentów z RDEB. W trakcie leczenia odnotowano zmniejszenie powierzchni ran o ok. 50–70%, a terapia była dobrze tolerowana.

Analiza bezpieczeństwa.

W badaniu klinicznym GEM-3 jakiegokolwiek zdarzenia niepożądane (ang. adverse event, AE) wystąpiły u ok. 58% pacjentów. Większość obserwowanych zdarzeń miała charakter łagodny (ok. 48%). Ciężkie AE odnotowano u ok. 10% chorych.

Najczęściej występujące zdarzenia niepożądane obejmowały raka kolczystokomórkowego, świąd oraz dreszcze (po ok. 10% każde), a także katar, kaszel, rumień i wysypkę (po ok. 7% każde). Wszystkie zgłoszenia dotyczące raka kolczystokomórkowego dotyczyły miejsc, które nie były bezpośrednio narażone na działanie ocenianego leku.

Nie wykazano wpływu obecności przeciwciał przeciwko wirusowi opryszczki pospolitej typu 1 (ang. herpes simplex virus, HSV-1) i kolagenowi typu VII w surowicy pacjentów na bezpieczeństwo stosowania B-VEC.

W badaniu OLE co najmniej jedno zdarzenie niepożądane zaistniało w trakcie leczenia (ang. treatment-emergent adverse event, TEAE) wystąpiło u ok. 75% pacjentów. Ciężkie TEAE częściej raportowano w grupie pacjentów, którzy uczestniczyli uprzednio w badaniu GEM-3 w porównaniu do chorych wcześniej nieleczonych (38% vs. 22%).

Najczęściej obserwowane TEAE w obu grupach obejmowały: COVID-19 (38% vs. 26%), kaszel (25% vs. 13%), gorączkę (21% vs. 9%), infekcje skóry (17% vs. 9%) oraz zapalenie tkanki podskórnej i nieżyt nosa (każde po ok. 13% vs. 4%).

W trakcie trwania obu badań (GEM-3 oraz OLE) nie zareportowano żadnych zgonów ani zdarzeń prowadzących do całkowitego przerwania leczenia.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak danych dotyczących długotrwałej skuteczności oraz bezpieczeństwa leczenia. Ponadto porównanie wewnątrzsobnicze w badaniu GEM-3 ogranicza możliwość porównania względem komparatora w zakresie jakości życia oraz bezpieczeństwa.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie zaproponowano instrumentu dzielenia ryzyka (RSS).

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Wnioskodawca przeprowadził analizę kosztów-użyteczności (CUA) dla porównania beremagene geperpavec (B-VEC) ze standardowym leczeniem wspomagającym (BSC), w dożywnym horyzoncie czasowym (do maksymalnego wieku 101 lat). Analizy przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej (NFZ+pacjent).

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności i wynosi z perspektywy NFZ 351,7 tys. PLN/QALY. Cena progowa produktu leczniczego Vyjuvek wynosi

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy NFZ.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest konieczność ekstrapolacji wyników w horyzoncie dożywnym, mimo krótkiego okresu obserwacji w badaniach oraz niepewność związana z wartościami użyteczności stanów zdrowia, które oparto na badaniu winietowym. Należy zwrócić także uwagę, na niepewność dotyczącą stopnia dzielenia fiolek i arbitralność części założeń.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Obliczenia własne Agencji

Nie dotyczy.

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 2026 r. poz. 253, z późn. zm.)

W związku z przedstawieniem w AKL wnioskodawcy badania RCT, w którym wykazano przewagę beremegenu geperpavecu nad komparatorem w populacji docelowej (badanie GEM-3), w opinii analityków Agencji nie zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

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

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej.

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [] pacjentów w I roku oraz [] w II roku refundacji.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Vujuvek spowoduje z perspektywy NFZ wzrost wydatków płatnika publicznego o:

- ok. 55,5 mln PLN (min. 52,0 mln PLN, max. 59,0 mln PLN) w I roku refundacji,
- ok. 78,0 mln PLN (min 73,1 mln PLN, max. 82,8 mln PLN) w II roku refundacji.

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy NFZ.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami analizy jest niepewność dotycząca oszacowań liczebności populacji docelowej i możliwa kumulacja wydatków w kolejnych latach refundacji w związku z przewlekłym charakterem schorzenia i możliwością ponownego włączania pacjentów do programu.

Pozostałe ograniczenia przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji.

Obliczenia własne Agencji

Nie dotyczy.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do programu lekowego

W związku z prośbą Ministra Zdrowia dotyczącą zajęcia stanowiska w kwestii zasadności przyjęcia kryterium wyłączenia z programu definiowanego jako nieuzyskanie redukcji powierzchni ran $\geq 50\%$, analitycy Agencji przeprowadzili ocenę proponowanego zapisu programu lekowego oraz danych klinicznych stanowiących jego uzasadnienie. Proponowany zapis jest zgodny z punktem końcowym dotyczącym oceny skuteczności zastosowanym w badaniu klinicznym fazy I/II (So 2022), w którym oceniano bezpieczeństwo i skuteczność autologicznych przeszczepów keratynocytów, poddanych transdukcji wektorem retrowirusowym przenoszącym pełnowymiarowy gen COL7A1, u pacjentów z RDEB. Jednocześnie należy zauważyć, że kryterium to różni się od sposobu oceny skuteczności zastosowanego w badaniu rejestracyjnym GEM-3 dla beremagene geperpavec, w którym pierwszorzędowym punktem końcowym było całkowite wygojenie rany. Biorąc jednak pod uwagę, że ankietowani przez Agencję eksperci kliniczni nie zgłosili uwag co do pozostawienia tego kryterium w zapisach programu, wydaje się ono zasadne.

Doprecyzowanie, które znalazło się w zapisach uzgodnionego projektu programu lekowego, że warunek ten dotyczy ran, których leczenie zostało zainicjowane na pierwszej wizycie terapeutycznej, jest istotne pod względem jednoznacznej interpretacji zapisów. Należy jednak zwrócić uwagę, że pewne wątpliwości budzi całkowite pominięcie w ocenie skuteczności terapii beremagene geperpavec oceny wygojenia ran, których leczenie rozpocznie się w późniejszym okresie.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono sześć dokumentów wytycznych: zalecenia Polskiego Towarzystwa Leczenia Ran (PTLR) z 2020 i 2023 roku, ogólnoeuropejskie wytyczne European Reference Network (ERN) for Rare Skin Diseases z 2021 roku, międzynarodowe konsensusy ekspertów DEBRA 2017 oraz Saad 2024, włoskie wytyczne El Hachem 2025.

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi leczenie pęcherzowego oddzielania się naskórka ma głównie charakter objawowy i koncentruje się na pielęgnacji ran, zapobieganiu urazom skóry oraz łagodzeniu dolegliwości związanych z chorobą. Ze względu na ryzyko ciężkich powikłań konieczne jest także regularne monitorowanie stanu skóry i nadzór nad rozwojem zmian nowotworowych (DEBRA 2017: kategoria D4). Do stosowania beremagene geperpavec odnoszą się jedynie wytyczne opublikowane po dacie rejestracji produktu, tj. włoskie wytyczne El Hachem 2025. Wymieniają one miejscową terapię genową w postaci żelu zawierającego gen COL7A1 jako dodatkową opcję terapeutyczną w leczeniu ran u pacjentów z RDEB. Wśród dostępnych metod leczenia miejscowego wskazują również żel z triterpenami brzołowymi.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano trzy rekomendacje refundacyjne: pozytywną francuską rekomendację HAS 2025 i pozytywną niemiecką rekomendację G-BA 2026 oraz projekt negatywnej brytyjskiej rekomendacji NICE 2026.

W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na udowodnioną skuteczność beremagene geperpavec w zakresie całkowitego wygojenia rany względem placebo (BSC), brak alternatywnych metod leczenia oraz innowacyjność leku. Według oceny G-BA beremagene geperpavec zapewnia dodatkową korzyść terapeutyczną, jednak dostępne dane nie pozwalają na określenie skali tej korzyści.

W projekcie negatywnej rekomendacji NICE, pomimo uznania wysokiej niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej oraz potencjalnych dodatkowych korzyści klinicznych beremagene geperpavec, wskazano na liczne niepewności dotyczące modelu ekonomicznego oraz brak efektywności kosztowej.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Vyjuvek jest refundowany w 8 krajach UE i EFTA na 30 wskazanych.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 03.07.2026 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.316.2026.21.ZLE), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego: „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD 10: Q81.2)”, 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 2026 r. poz. 253, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 134/2026.

Z wyrazami szacunku

Z upoważnienia Prezesa

Dr n. med. Przemysław Rządziejewicz

ZASTĘPCA PREZESA

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 134/2026 z dnia 14 września 2026 roku w sprawie oceny leku Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”
2. Wniosek o objęcie refundacją leku produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego: „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”. Analiza weryfikacyjna OTLI.4131.3.2026. Data ukończenia: 3 września 2026 r.