



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 20/2016 z dnia 15 lutego 2016 roku  
w sprawie oceny leku Naglazyme (galsulfasum) kod EAN:  
5909990614745, we wskazaniu: długotrwała substytucja  
enzymatyczna u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem  
mukopolisacharydozy typu VI (MPS VI; niedobór 4-sulfatazy N-  
acetylogalaktozaminy; zespół Maroteaux-Lamy'ego) (ICD-10 E 76.2)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Naglazyme (galsulfasum) 1 fiolka o pojemności 5 ml zawierająca 5 mg galsulfazy, kod EAN: 5909990614745, we wskazaniu: długotrwała substytucja enzymatyczna u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem mukopolisacharydozy typu VI (MPS VI; niedobór 4-sulfatazy N-acetylogalaktozaminy; zespół Maroteaux-Lamy'ego) (ICD-10 E 76.2) z utworzeniem dla niego nowej grupy limitowej oraz wydawaniem go bezpłatnie w ramach proponowanego (uzgodnionego) programu lekowego, przez najbliższy rok, do czasu rzetelnej oceny efektów dotychczas realizowanego programu lekowego w tym wskazaniu, z użyciem tej samej technologii.*

*Z uwagi na bardzo duży koszt technologii Rada Przejrzystości uważa propozycję instrumentu dzielenia ryzyka za niewystarczającą.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

*Wniosek dotyczy stosowania wnioskowanej technologii w ramach programu lekowego realizowanego już wcześniej pod symbolem B.26. Program ten był realizowany do końca roku 2015. Po raz ostatni uwzględniono go w obwieszczeniu Ministra Zdrowia w sprawie listy leków refundowanych z dnia 28 października 2015r. W ostatnich miesiącach nie miały miejsca żadne fakty, które uzasadniałyby odstępnie od realizacji programu w roku 2016. Jednakże Rada poddaje w wątpliwość dowody naukowe dotyczące skuteczności tej interwencji. Tryb i czas zgłoszenia wniosku uniemożliwił Radzie Przejrzystości dokonanie pełnej analizy wniosku w oparciu o przyjęte w tym zakresie kryteria. Podmiot wnioskujący powinien dostarczyć właściwą*



*analizę ekonomiczną dotyczącą proponowanej technologii, a z NFZ i od powołanego przez Prezesa Funduszu Zespołu Koordynującego ds. Chorób Ultrazadkowych należy uzyskać dane sprawozdawcze, z uwzględnieniem obserwacji klinicznych oraz wyników badań diagnostycznych przeprowadzanych w ramach monitorowania programu u pacjentów nim objętych.*

.....

Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**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 2015 r., poz. 345), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr OT.4351.4.2016 „Wniosek o objęcie refundacją leku Naglazyme (galsulfaza) we wskazaniu: długotrwała substytucja enzymatycznej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem mukopolisacharydozy typu VI (MPS VI; niedobór 4-sulfatazy N-acetylogalaktozaminy; zespół Maroteaux-Lamy’ego) (ICD-10 E 76.2)”. Data ukończenia: 06.02.2016r.