



Rekomendacja nr 99/2023

z dnia 11 września 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

w sprawie oceny leku Strensiq (asfotaszum alfa)

w ramach programu lekowego:

„Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu

hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)”

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Strensiq (asfotaszum alfa) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)” na zaproponowanych warunkach finansowych.

Uzasadnienie rekomendacji

W analizie klinicznej oceniono skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo zastosowania asfotazy alfa względem BSC u pacjentów z hipofosfatazją perinatalną/niemowlęcą i dziecięcą (do 5 lat, w wieku 6-12 lat i 13-65 lat).

Wyniki analizy wskazują na korzyści z zastosowania ocenianej technologii w zakresie przeżycia chorych oraz częstości występowania dpowiedzi na leczenie wg skali RGI-C w porównaniu do BSC. Wnioskowanie o skuteczności leku opiera się jednak głównie na badaniach jednoramiennych, a porównanie względem BSC przeprowadzono przy uwzględnieniu historycznej grupy kontrolnej, co obniża wiarygodność zestawienia.

Przeprowadzona analiza ekonomiczna wykazała, że oszacowany wskaźnik ICUR znajduje się wielokrotnie [redacted] progu opłacalności [redacted]. Z kolei prognozowany wzrost wydatków związany z finansowaniem produktu Strensiq (asfotaszum alfa), z perspektywy NFZ, [redacted] w drugim roku refundacji. Jednocześnie wnioskodawca [redacted]

Odnalezione wytyczne postępowania medycznego zalecają stosowanie asfotaszum alfa we wnioskowanym wskazaniu, zwłaszcza u chorych z HPP o niekorzystnym rokowaniu, natomiast rekomendacje Agencji HTA są podzielone. Przedstawione dowody naukowe nie rozwiewają wątpliwości wskazywanych przez inne Agencje HTA, tj. dotyczące skuteczności leku w populacji chorych z HPP o początku w wieku dziecięcym do 18 r.ż., niepewności określenia wielkości korzyści klinicznych oraz dotyczące niepewności oszacowań ICER.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego:

- Strensiq, Asfotaszum alfa, Roztwór do wstrzykiwań, 40 mg/ml, 12 fiol. po 0,70 ml, kod GTIN: 05391527745136; cena zbytu netto: [REDAKTOWANE]
- Strensiq, Asfotaszum alfa, Roztwór do wstrzykiwań, 40 mg/ml, 12 fiol. po 0,45 ml, kod GTIN: 05391527745143; cena zbytu netto: [REDAKTOWANE]
- Strensiq, Asfotaszum alfa, Roztwór do wstrzykiwań, 40 mg/ml, 12 fiol. po 1 ml, kod GTIN: 05391527745129; cena zbytu netto: [REDAKTOWANE]
- Strensiq, Asfotaszum alfa, Roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 12 fiol. po 0,8 ml, kod GTIN: 05391527745122; cena zbytu netto: [REDAKTOWANE]

Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie w ramach programu lekowego, w nowej grupie limitowej.

[REDAKTOWANE]

Problem zdrowotny

Hipofosfatazja jest ultra rzadką, uwarunkowaną genetycznie, wieloukładową chorobą, zaliczaną do grupy zaburzeń metabolizmu i mineralizacji kości, charakteryzującą się deficytem nieswoistej tkankowej fosfatazy alkalicznej (zasadowej) (ALP, ang. alkaline phosphatase).

Hipofosfatazja została sklasyfikowana w oparciu o wiek pojawienia się i nasilenia objawów klinicznych. Wyróżnia się siedem postaci HPP (istnieje również klasyfikacja uwzględniająca 6 postaci, która nie obejmuje pseudohipofosfatazji):

- postać okołoporodową;
- postać noworodkową;
- postać niemowlęcą;
- postać dziecięcą;
- postać dorosłą;
- odontohipofosfatazję;
- pseudohipofosfatazję.

Objawy hipofosfatazji są zróżnicowane i dotyczą układu kostnego (krzywica lub osteomalacja), anomalii stomatologicznych, objawów ze strony układu mięśniowego i oddechowego, a także nerkowej manifestacji choroby.

W postaci noworodkowej i niemowlęcej HPP, które charakteryzują się niskim wskaźnikiem przeżywalności, objawy zagrażające życiu obejmują niewydolność oddechową, drgawki pirydoksynozależne (odpowiadające na witaminę B6), deformację klatki piersiowej i kraniosynostozę. Inne objawy obejmują upośledzenie wzrostu i ruchliwości, zmodyfikowany metabolizm wapnia i fosforanów, nefrokalcynozę i skrzywienie kości długich. Cechą charakterystyczną HPP w postaci dziecięcej jest krzywica. W przebiegu choroby pojawia się ból i osłabienie mięśni.

Zazwyczaj postacie HPP o wczesnym początku charakteryzują się gorszym rokowaniem. Szacuje się, że wskaźniki przeżycia chorych z ciężkimi postaciami HPP wynoszą 42% i 27% odpowiednio w wieku 1 i 5 lat.

Dokładne dane dotyczące częstości występowania hipofosfatazji (HPP) nie są dostępne.

W Europie Północnej i Zachodniej częstość występowania ciężkich postaci choroby (postaci okołoporodowych śmiertelnych i postaci dziecięcych) w chwili urodzenia szacuje się na 1/300 000 (oszacowane na podstawie przypadków odnotowanych w 10 letnim horyzoncie czasowym w stosunku do rocznej liczby urodzeń w 2006 roku w wybranych krajach europejskich).

Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne oraz technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych za komparator dla wnioskowanej technologii wskazano najlepsze leczenie wspomagające (BSC): fizjoterapia, rehabilitacja; leczenie bólu; leczenie stanów zapalnych, terapia przeciwdrgawkowa (witamina B6), dieta ubogowapniowa, nawodnienie, leczenie wspomagające wydalanie wapnia (w tym leki moczopędne) oraz kalcytonina; stosowanie sprzętu korekcyjnego, w tym wkładek ortopedycznych i ortez.

Pacjent z HPP pozostaje pod opieką specjalistów.

Opis wnioskowanego świadczenia

Asfotaza alfa jest to ludzka, rekombinowana, tkankowo niespecyficzna alkaliczna fosfataza-Fcdekaasparaginian (białko fuzyjne) posiadająca aktywność enzymatyczną, która wspiera mineralizację kośćca u pacjentów z hipofosfatazją.

Wnioskowane wskazanie jest tożsame ze wskazaniem rejestracyjnym leku. Zgodnie z ChPL Strensiq jest wskazany do stosowania w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z hipofosfatazją dziecięcą w leczeniu objawów kostnych choroby.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

Do analizy włączono 5 badań:

1) hipofosfatazja perinatalna/niemowlęca i dziecięca u chorych w wieku do 5 lat:

- badanie ENB-002-08 (publikacja Whyte 2012) wraz z jego kontynuacją – badaniem ENB-003-08 (publikacja Whyte 2019): prospektywne, otwarte, jednoramienne, w którym uczestniczyło 11 chorych na HPP leczonych AA;
- badanie ENB-010-10 (publikacja Hofmann 2019): prospektywne, otwarte, jednoramienne, w którym uczestniczyło 69 chorych na HPP leczonych AA;
- badanie ENB-011-10 (publikacja Whyte 2019_b): badanie retrospektywne, jednoramienne, w którym uczestniczyło 48 nieleczonych chorych na HPP (BSC).

Uwzględniono ponadto publikację Whyte 2016 z wynikami dla porównania AA względem BSC, gdzie:

- wyniki dla chorych poddanych terapii AA pochodzące z badań ENB-002-08 (wraz z kontynuacją – badanie ENB-003-08) oraz z badania ENB-010-10;

- wyniki dla chorych nieleczonych – BSC (historyczna grupa kontrolna) pochodzące z badania ENB-011-10.
- 2) hipofosfataza dziecięca u chorych w wieku 6-12 lat:
- badanie ENB-006-09 wraz z jego kontynuacją, badaniem ENB-008-10 (publikacja Whyte 2016_b) – badanie RCT, otwarte (pierwszych 6 miesięcy) a następnie kontynuacja – badanie prospektywne, eksperymentalne, jednoramienne, otwarte (do 5 lat) z historyczną grupą kontrolną (BSC)
- 3) hipofosfataza dziecięca u chorych w wieku 13-65 lat:
- ENB-009-10 (publikacja Kishnani 2019): badanie RCT, otwarte dla porównania AA względem BSC z kontynuacją.

Nie odnaleziono opracowań wtórnych spełniających kryteria włączenia do przeglądu.

W badaniach oceniano następujące punkty końcowe: przeżycie całkowite, przeżycie wolne od wentylacji (VFS), przeżycie bez konieczności wentylacji inwazyjnej (IFVST), wyniki w skalach oceny objawów kostnych (RGI-C, RSS), ocena rozwoju psychoruchowego (BSID-III, 6MWT, BOT-2), stosowanie metod wspomaganie oddechu, ocenę rozwoju somatycznego (wzrost, masa ciała, BMI, obwód głowy), ocena jakości życia (CHAQ, PODCI) oraz profil bezpieczeństwa.

Ryzyko błędu systematycznego w badaniach RCT, wg skali opisowej Cochrane należy uznać za wysokie w przypadku domen dotyczących zaślepienia badania i badaczy (otwarty projekt badań).

Skuteczność

Postać perinatalna i niemowlęca HPP (wiek do 5 lat), ENB-002-08/ ENB-003-08, ENB-010-10

AA względem BSC (historyczna grupa kontrolna)

Mediana czasu przeżycia całkowitego w grupie badanej nie została osiągnięta (dokumentacja medyczna chorego gromadzona do 5 r.ż.).

W grupie kontrolnej mediana czasu przeżycia całkowitego wyniosła 8,9 mies. (95% CI: 5,1; 14,0).

Główne wyniki dotyczące chorych leczonych AA (badania jednoramienne):

- przeżycie całkowite (OS): 79,7% (55/69 pacjentów) po 6 latach;
- przeżycie wolne od wentylacji (VFS): 84% (38/45 pacjentów) po 6 latach;
- odpowiedź na leczenie wg skali RGI-C (wynik $\geq +2$): 88,9% (8/9 pacjentów) po roku; 100% (7/7 pacjentów) po 7 latach;
- brak wspomaganie oddychania od 45,8% (11/24 pacjentów) do 95,6% (43/45 pacjentów) w zależności od podgrupy - odpowiednio chorzy niewymagający i wymagający zastosowania metod wspomaganie oddychania na początku udziału w badaniu.

Postać dziecięca HPP (6-12 lat), ENB-006-09/ENB-008-10

AA względem BSC (historyczna grupa kontrolna)

Odpowiedź na leczenie wg skali RGI-C (wynik $\geq +2$) w czasie 6 miesięcy w grupie AA uzyskało 69,2%. W grupie kontrolnej BSC uzyskano wynik 6,3%.

Główne wyniki dotyczące chorych leczonych AA (badanie jednoramienne):

- odpowiedź na leczenie wg skali RGI-C (wynik $\geq +2$): 91,7% po 5 latach.;
- uzyskanie $\geq 80\%$ przewidywanej odległości pokonanej w teście 6MWT: 77,8 (7/9 pacjentów) po 5 latach.

Odnotowano poprawę jakości życia chorych leczonych AA w ocenie wg skal CHAQ i PODCI.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono badań dotyczących skuteczności praktycznej ocenianego leczenia.

Bezpieczeństwo

W trakcie trwania badania ENB-002-08/ENB-003-08 odnotowano wystąpienie jednego przypadku (1/11) zgonu. W badaniu ENB-010-10 łącznie odnotowano dziewięć (9/69, 13%) zgonów.

Do najczęstszych (>25%) TEAEs zaliczono: gorączkę, zakażenie górnych dróg oddechowych, kraniosynostozę, zapalenie płuc, zaparcia, zapalenie ucha środkowego i wymioty.

Spośród ciężkich zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia najczęściej występowały: zapalenie płuc, niewydolność oddechowa, drgawki, obniżona saturacja oraz kraniosynostozę.

W badaniu ENB-006-09/ENB-008-10 nie odnotowano żadnego przypadku zgonu ani ciężkiego zdarzenia niepożądanego.

U wszystkich chorych raportowano wystąpienie co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego zaistniałego w trakcie leczenia (umiarkowany, łagodny stopień nasilenia).

ChPL Strensiq

Do bardzo często (1/10) występujących działań niepożądanych związanych ze stosowaniem asfotazy alfa należą: ból głowy, ból kończyn, reakcje w miejscu wstrzyknięcia, gorączka, drażliwość, kontuzje.

Inne dokumenty dotyczące bezpieczeństwa leczenia

W dokumencie FDA z 2020 r. zwrócono uwagę na ryzyko pojawienia się reakcji nadwrażliwości, ryzyko wystąpienia zwapnień ektopowych w obrębie oka oraz nerek, a także skutki kliniczne zależne od układu immunologicznego.

Ograniczenia

Niepewność wnioskowania wynika głównie z braku badań klinicznych z równoległą grupą kontrolną dla asfotazy alfa. Dostępne dowody stanowią badania otwarte o niskiej liczebności pacjentów.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka



Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 175 926 PLN/QALY (3 x 58 642 PLN).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym.

Przeprowadzono analizę użyteczności kosztów (CUA) w dożywotnym horyzoncie czasowym (xx lat), z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej NFZ i świadczeniobiorcy (pacjenta).

Strensiq (asfotasum alfa) porównano z BSC.

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztów medycznych:

- koszty leków;
- koszty leczenia wspomagającego;
- koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia w programie lekowym.

Inkrementalny wskaźnik użyteczności kosztów (ICUR) z perspektywy NFZ wyniósł:

- postać noworodkowa/niemowlęca HPP: [redacted]
- postać dziecięca HPP: [redacted]

W przypadku obu podgrup oszacowany ICUR znajduje się [redacted] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Oszacowano wartość progowa ceny zbytu netto leku (CZN), przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu wynosi odpowiednio:

- postać perinatalna/niemowlęca HPP:
[redacted]
[redacted]
[redacted]
[redacted]
- postać dziecięca HPP:
[redacted]
[redacted]
[redacted]
[redacted]

Wyniki analizy probabilistycznej wykazały, że prawdopodobieństwo opłacalności terapii [redacted]

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem AE wnioskodawcy jest przyjęcie zerowych wartości śmiertelności związanej z HPP w postaci dziecięcej oraz określenie w modelu postaci dziecięcej HPP jako choroby zdiagnozowanej po 5. roku życia – co nie jest zgodne z zaproponowanym we wniosku programem lekowym.

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 2023 r. poz. 826);

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

W opinii Agencji nie zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji.

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

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Wyniki analizy wpływu na budżet wnioskodawcy zostały przedstawione w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

W analizie uwzględniono koszty tożsame z uwzględnionymi w analizie ekonomicznej.

Wnioskodawca oszacował liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na:

- [] pacjentów w I roku,
- [] pacjentów w II roku.

Wyniki analizy podstawowej z perspektywy NFZ, uwzględniającej RSS wskazują, że objęcie refundacją produktu leczniczego Strensiq (asfotasum alfa) wiązać się będzie ze [] wydatków płatnika publicznego o ok.:

- [] w I roku,
- [] w II roku refundacji.

Wyniki analizy wrażliwości były spójne co do kierunku wnioskowania z wynikami analizy podstawowej.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem jest związana z oszacowaniem populacji chorych na HPP w Polsce. Eksperti wskazują, że pacjentów w populacji docelowej jest ok. 20.

Obliczenia własne

Nie przeprowadzono.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Przedstawione warunki finansowe są niewystarczające.

Uwagi do programu lekowego

Sugeruje się rozważenie zmian zaproponowanych przez ekspertów ankietowanych przez Agencję. (zestawienie zawarto w AWA).

Nie zgłaszano uwag do projektu programu lekowego w zakresie wskaźników skuteczności terapii za wyjątkiem wątpliwości co do oznaczenia stężenia parathormonu wykonywanego tylko w 3 miesiącu.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedstawiana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Wnioskodawca zaproponował rozwiązanie polegające na

Oszacowane oszczędności w wysokości , umożliwiłyby pokrycie kosztów związanych z finansowaniem technologii wnioskowanej.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 3 rekomendacje kliniczne odnoszące się do wnioskowanego wskazania wydane przez:

- Polskie Towarzystwo Endokrynologii i Diabetologii Dziecięcej (PTEiDD 2018);
- International Osteoporosis Foundation and National Osteoporosis Foundation (IOF/NOF 2020);
- Committee of The Japanese Society for Pediatric Endocrinology (JSPE 2018).

U chorych z hipofosfatazją (dysplazją kostną z nieprawidłową mineralizacją), w której przyczyną zaburzeń jest niedobór TNAP, zaleca się stosowanie asfotazy alfa (PTEiDD 2018).

Leczenie za pomocą asfotazy alfa rekomendowane jest zwłaszcza u chorych z HPP o niekorzystnym rokowaniu (JSPE 2018).

W wytycznych wskazywane są również: preparaty wapnia, witaminy D i K, bisfosfoniany, zabiegi ortopedyczne oraz rehabilitacja.


Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 6 rekomendacji refundacyjnych, w tym trzy pozytywne (NICE 2023, HAS 2016, G-BA 2016), jedna warunkowa (CADTH 2015) i dwie negatywne (SMC 2021, PBAC 2017).

W pozytywnych rekomendacjach zwrócono uwagę na skuteczność leczenia w zakresie większości punktów końcowych, rzadkość występowania choroby i brak alternatywnego leczenia. Podkreślano jednak, że istnieją niepewności co do wielkości korzyści klinicznej (NICE, G-BA) oraz że koszt leczenia jest wysoki (NICE).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo wskazano na konieczność: leczenia pacjentów w placówkach posiadających doświadczenie w leczeniu HPP po zdefiniowaniu terminowego celu terapii (24 tyg.) oraz znacznym obniżeniu ceny leku.

Rekomendacje negatywne wynikały z uwagi na wątpliwości co do skuteczności leku w populacji chorych z HPP o początku w wieku dziecięcym do 18 r.ż. oraz niepewność oszacowań ICER (PBAC) lub z uwagi na przyczyny formalne (SMC)

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Strensiq (asfotasum alfa) jest finansowany w ocenianym wskazaniu w  krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 12.06.2023 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.2472.2022.17.ELA, PLR.4500.2473.2022.17.ELA, PLR.4500.2474.2022.19.ELA, PLR.4500.2475.2022.17.ELA), odnośnie do przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie oceny leku Strensiq (asfotasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie objawów kostnych w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3) asfotazą alfa” 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 2023 r. poz. 826), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 98/2023 z dnia 4 września 2023 roku w sprawie oceny leku Strensiq (asfotasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie objawów kostnych w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3) asfotazą alfa”

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 98/2023 z dnia 4 września 2023 roku w sprawie oceny leku Strensiq (asfotasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie objawów kostnych w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3) asfotazą alfa”
2. Raport nr OT.423.1.27.2023 Wniosek o objęcie refundacją leku Strensiq (asfotasum alfa) we wskazaniu: „Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)”