

ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka czy wskazania. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu.

W związku z powyższym należy wskazać, iż 22 grudnia 2022 r. do Ministerstwa Zdrowia wpłynął wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku zawierającego *asfotaze alfa* (Strensiq) w ramach nowego programu lekowego *"Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji dziecięcej (HPP) (ICD-10 E83.3)"*. Wniosek wraz z całą dokumentacją przeszedł ocenę AOTMiT, po czym została wydana **negatywna** rekomendacja Prezesa Agencji o numerze 99/2023.

W rekomendacji Prezes Agencji wskazał między innymi, że odnalezione wytyczne postępowania medycznego zalecają stosowanie asfotasum 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 efektywności kosztowej. Rada Przejrzystości wydała w przedmiotowej kwestii pozytywne stanowisko nr 98/2023 jednak wyraźnie w nim wskazała na konieczności wdrożenia instrumentu dzielenia ryzyka celem osiągnięcia efektywności kosztowej wnioskowanej terapii wzorem innych krajów.

Pełna treść rekomendacji dostępna jest na stronie internetowej AOTMiT:

[https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2023/060/REK/2023%2009%2011%20BP%20RP%20nr%2099\\_2023%20Strensiq%20publikacja\\_BIP\\_REOPTR.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/060/REK/2023%2009%2011%20BP%20RP%20nr%2099_2023%20Strensiq%20publikacja_BIP_REOPTR.pdf).

W dalszym kroku wniosek o objęcie refundacją leku Strensiq został skierowany na negocjacje cenowe Wnioskodawcy z Zespołem Negocjacyjnym Komisji Ekonomicznej. Po zakończonych negocjacjach Komisja Ekonomiczna wydała w sprawie negatywną uchwałę.