

Nyilvános összefoglaló

1. Kérelem tárgya

A kérelem az **Agamree 40 mg/ml belsőleges szuszpenzió, 1x100 ml** készítmény társadalombiztosítási támogatásba történő felvételére irányul.

A kérelmező a nevezett termék **tételes** támogatását kéri a következő új, létesítésre javasolt indikációban:

Az Agamree 4 éves és idősebb betegek számára javallott a Duchenne-féle izomdystrophia (DMD) kezelésére.

A készítmény hatóanyaga, az **H02AB18** ATC-kódú **vamorolon** hatóanyag, mely jelenleg nem támogatott új hatóanyag a támogatási kategóriában.

A **Agamree 40 mg/ml belsőleges szuszpenzió** készítmény alkalmazási előírásában szereplő terápiás javallata megegyezik a kérelmezett indikációval.

A kérelem PICO struktúráját az 1. táblázat mutatja.

1. táblázat: A kérelmezett indikáció PICO struktúrája

	Populáció	Beavatkozás	Komparátor	Végpont
Kérelmezett indikáció alapján definiált	Duchenne-féle izomdisztrófiában (DMD) szenvedő, 4 éves vagy annál idősebb betegek	vamorolon 6 mg/kg/nap;	<ul style="list-style-type: none"> • prednizon 0,75 mg/kg/nap 1x • deflazakort 0,9 mg/kg nap 1x 	TTSTAND-sebesség, 6MWT, TTRW-sebesség, biztonságosság
Orvosszakmai bizonyítékok alapján definiált	Duchenne-féle izomdisztrófiában (DMD) szenvedő, 4 éves vagy annál idősebb betegek	vamorolon 6 mg/kg/nap; 2 mg/kg/nap	VISION-DMD: <ul style="list-style-type: none"> • prednizon 0,75 mg/kg/nap 1x • placebo 	TTSTAND-sebesség, 6MWT, TTRW-sebesség, biztonságosság
			Indirekt összehasonlítás: <ul style="list-style-type: none"> • prednizon 0,75 mg/kg/nap 1x • deflazakort 0,9 mg/kg nap 1x 	TTSTAND-sebesség, 6MWT, TTRW-sebesség, NSAA összpontszám
Egészség-gazdaságtani elemzésben szereplő	A kérelmezett indikációval megegyező	vamorolon 6 mg/kg/nap; 2 mg/kg/nap	<ul style="list-style-type: none"> • prednizon 0,75 mg/kg/nap 1x • deflazakort 0,9 mg/kg nap 1x 	TTSTAND-sebesség, QALY, ICER, CUA

Forrás: TÉF saját összeállítás a benyújtott dokumentáció alapján

2. A kérelmezett indikációban alkalmazható és elérhető kezelési alternatívák

2.1. A kérelmezett indikációban alkalmazható kezelések

Az UpToDate szakmai portál és az EURO-NMD irányelvei alapján:

Betegségmódosító kezelés: prednizon/prednizolon vagy deflazakort, vamorolon (Grade 2B), amelyet élethosszig javasolt folytatni, amennyiben súlyos mellékhatások nem lépnek fel.

Génterápiás készítmények: eteplirsen, golodirsen, viltolarsen, ataluren; néhány országban elérhető. Fokozzák a disztrófin expresszióját, azonban klinikai előnyük még nem bizonyított egyértelműen.

Hiszton-deacetiláz inhibitor: givinosztát. 2024 márciusában engedélyezte az FDA a Duchenne-izomdisztrófia (≥ 6 év) kezelésére. Előzetes vizsgálatok lassabb betegségprogressziót jeleznek, de hatásossága további megerősítést igényel.

Multidiszciplináris ellátás a betegség progressziója és a gyógyszeres kezelés mellékhatásai következtében: rehabilitáció, egészségmegőrzés, endokrin terápia, gasztrointesztinális, légzőszervi és kardiológiai ellátás, csont- és osteoporosis-kezelése.

Hazai érvényben lévő irányelv, valamint finanszírozási eljárásrend nem áll rendelkezésre a DMD kezelését és diagnosztizálását illetően.

2.2.A kérelmezett indikációban hazai körülmények között elérhető kezelések

Hazai körülmények között a prednizon és a deflazacort indikáción túl (Emflaza és a Deflazacort XGX Pharma alkalmazási előírásában szerepel a DMD terápiás indikáció, Deflazacort Sanofi, Calcort 6 mg nem tartalmazza a DMD-re vonatkozó terápiás javallatot), a givinosztát pedig egyedi méltányosság keretében elérhető.

Az Emflaza USA-ban elérhető, 2017 februárjában került engedélyeztetésre az FDA által, kezdetben 5 éves kortól javasolták a DMD kezelésére, majd 2021-től már 2 éves kortól is alkalmazható. Deflazacort XGX Pharma 6 mg és 30 mg a következő országokban elérhető: Dánia, Finnország, Svédország, Hollandia, Norvégia.

3. Komparátorválasztás

A Kérelmező költséghasznossági elemzésében a prednizon és a deflazacort kezelések a komparátor terápiák.

A Kérelmező komparátor-választása a szakmai irányelvek, és a klinikai gyakorlat figyelembevételével megfelelő azonban az alábbi limitációkkal terhelt: a prednizon és a deflazacort alkalmazása a kérelmezett indikációban off-label.

4. A kérelmezett technológia orvosszakmai bizonyítékainak bemutatása és bizonyítékainak értékelése

4.1. Relatív hatásosság

A rendelkezésre álló indirekt összehasonlításban a magasságot vizsgáló biztonságossági végpontban többletelőny igazolódott a vamorolon estében a komparátorokkal (prednizon, deflazacort) szemben, ennek hosszútávú klinikai jelentősége nehezen megítélhető.

2. táblázat: Az indirekt összehasonlító elemzés összefoglaló táblázata

VISION-DMD VS. FOR-DMD (data on file)	
Jellemzői	indirekt entrópia-súlyozott összehasonlítás
Célja	vamorolon összevetése a Duchenne-szindrómában alkalmazott klasszikus kortikoszteroidokkal (prednizon, deflazacort).
Populáció	VISION-DMD: fiú betegek, akik vamorolont kaptak (6 mg/kg/nap vagy 2 mg/kg/nap). FOR-DMD: beválasztási kritériumok → genetikailag igazolt DMD, életkor 4–<7 év, önálló járás, TTSTAND <10 mp.
Vizsgálati karok	<ul style="list-style-type: none">vamorolon 6 mg/kg/nap: n=XX főprednizon 0,75 mg/kg/nap: n=XX fődeflazacort 0,9 mg/kg/nap: n= XX fő.

Végpontok	<p>Fő összehasonlítás: TTSTAND-sebesség, 6MWT, TTRW-sebesség, NSAA összpontszám:</p> <ul style="list-style-type: none"> Vamorolon 6 mg/kg/nap (VISION-DMD) vs. prednizon 0,75 mg/kg/nap és deflazacort 0,9 mg/kg/nap (FOR-DMD). <p>Kiegészítő elemzés</p> <ul style="list-style-type: none"> Vamorolon 2 mg/kg/nap (VISION-DMD) vs. intermittáló prednizon 0,75 mg/kg (10 nap on/10 nap off, FOR-DMD).
Eredmények	<p>Az 1 éves kezelési periódust tekintve a vizsgált végpontokat figyelembe véve az indirekt entrópia-súlyozott elemzés nem mutatott szignifikáns különbséget a vamorolon (6 mg/kg/nap) és a standard kezdő dózisú klasszikus kortikoszteroidok (prednizon, deflazacort) hatásossága között a Duchenne-féle izomdisztrófiában szenvedő fiúgyermeket tekintve.</p>
Biztonságosság	<p>Az antropometriai adatok összevetése alapján a vamorolon kevésbé csökkent a növekedést, szemben a klasszikus kortikoszteroidokkal. Bár mindhárom kezelés növelte a testsúly- és BMI z-értékeket. Egyéb biztonságosságra vonatkozó összehasonlító elemzés nem történt.</p>
Életminőség	<p>Az indirekt összehasonlítás során nem vizsgáltak az életminőségre vonatkozó végpontokat.</p>
Megjegyzés	<p>A direkt (VISION-DMD) összehasonlítás alapján (vamorolon 6 mg/kg/nap vs. prednizon 0,75 mg/kg/nap) a vamorolon karon kisebb arányban fordult elő a magatartásra vonatkozó nemkívánatos mellékhatás.</p> <p>A vamorolon karokon a prednizonhoz képest alacsonyabb arányban fordultak elő a következő kezeléshez köthető nemkívánatos hatások:</p> <ul style="list-style-type: none"> magatartási zavarok (prednizon vs vamorolon 1,08-0,51; $\Delta=52,8\%$) gasztrointesztinális panaszok (prednizon vs vamorolon 0,72-0,60; $\Delta=16,7\%$) Cushingoid-tünetek; <p>A VISION-DMD-ben vizsgált PRO-k (PODCI, TSQM) és izomerősség végpontok esetében: nem volt szignifikáns különbség a vamorolon és a placebo karok között.</p> <p>A DMD-ben szenvedő fiúgyermek esetében eleve alacsonyabb z-score figyelhető meg a testmagasságot illetően összevetve az egészséges populációval, amely a betegség előrehaladtával csökken a szteroiddal nem kezelt betegek esetében is.</p> <p>FOR-DMD vizsgálatba bevont betegek életkora: 4-<8 év</p>

Az abszolút kockázat-csökkenést jellemző minimálisan szükséges betegszám kiszámítása a klinikai többletelőny meglétének nem igazolható volta miatt nem releváns,

4.2. Az egészség-gazdaságtani elemzésben felhasznált klinikai bizonyítékok

Az egészség-gazdaságtani elemzésben részben az aktív- és placebo-kontrollált pivotális VISION-DMD vizsgálat adatai, részben a VISION-DMD és a FOR-DMD klinikai vizsgálatok indirekt összehasonlításából származó eredményei kerültek felhasználásra.

5. Egészség-gazdaságtani bizonyítékok összefoglalása

5.1. Egészség-gazdaságtani elemzés célja és típusa

A társadalombiztosítási támogatási kérelemhez egy költség-hasznossági típusú teljeskörű gazdasági elemzés készült, melyben a vamorolon terápia alapesetben a deflazacort és prednizon terápiákkal került összevetésre. A gazdasági elemzés alapja egy globális egészség-gazdaságtani modell hazai körülményekre adaptált változata. Az elemzés 1 hónapos ciklusokban 72 éves

időtávval, tehát a modellezett populáció átlagéletkorát (4,6 év) is figyelembe véve a várható élettávon túl számol.

A gazdasági elemzést a forgalomba hozatali engedélyben is szereplő VISION-DMD vizsgálat mintáját alapul véve készítették el.

5.2. Egészség-gazdaságtani elemzés bemeneti paramétereit és feltételezései

Az elemzésben vizsgált eljárások hatásossági adatainak bemeneti adatai a vamorolon hatóanyagot a placeboval, valamint a deflazakort hatóanyagot a prednizzonnal összevető VISION-DMD és FOR-DMD vizsgálatokból, a hasznossági adatok irodalmi forrásokból, az erőforrás-felhasználási mintázatok finanszírozói adatbázis-elemzésekből és szakirodalmi forrásból származnak. A további gyógyszeres kezelés költségei hazai, finanszírozói adatforrásokból származnak.

5.3. Egészség-gazdaságtani elemzés eredménye és értékelése

A Kérelmező által készített egészség-gazdaságtani elemzés nem alkalmas döntéselőkészítési célra történő felhasználásra, mert az azt megalapozó egészség-gazdaságtani modellben a vamorolon karon az 5. ciklustól kezdve a modellezett betegek összesített száma alacsonyabb, mint a kiindulási betegszám. Ennek oka, hogy a „7a (önellátásra nem képes, éjszakai lélegeztetést igényel)” egészségi állapotban nem kerültek elszámolásra azok a betegek, akik a korábbi ciklusban is már ebben az állapotban voltak.

6. Betegszám és költségvetési hatás nagysága

6.1. Becsült betegszám

A Kérelmező a betegszám becslését epidemiológiai és szakirodalmi adatokra, valamint feltételezésekre alapozza, mely alapján a teljes kezelt betegszám az Agamree terápia esetében az 1., 2., 3., és 4. év végére 43, 47, 52 és 58 főre tehető. Ez 40%, 41,5%, 44% és 47%-os piaci részesedést jelentene a Kérelmező szerint.

6.2. Az összehasonlításra kerülő terápiák költsége

A költségvetési hatás elemzésben az Agamree listaáron számított kiszerezésenkénti bruttó nagykereskedelmi ára XXX Ft, átlagos éves költsége XXX Ft az incidens (életkor: 4,6-7,6 év; testsúly: 16,2-22,9 kg) és XXX Ft a prevalens populációban (életkor: 10,6-13,6 év; testsúly: 31,4-43,0 kg), mivel a vamorolon adagolása testsúlyfüggő. A komparátor prednizon és deflazakort terápiák költsége évente XXX Ft – XXX Ft.

A TEF felhívja a figyelmet, hogy a Kérelmező hibás összeggel számolt a Prednisolon-Richter 5 mg tablettá, 100x esetén mind a modellben, mind a költségvetési hatás becslése során.

A TEF továbbá megjegyzi, hogy a deflazakort árát a Kérelmező a Norvégiában érvényes referenciaár alapján határozta meg.

6.3. Költségvetési hatás

A Kérelmező által várt, támogatott áron számított, az Agamree terápia összegzett bruttó költségvetési hatása XXX milliárd, XXX milliárd, XXX milliárd és XXX milliárd Ft a befogadói döntést követő 1., 2., 3., 4. évben. A prednizon és deflazakort komparátorok költségeit is figyelembe vevő nettó költségvetési hatás XXX milliárd, XXX milliárd, XXX milliárd és XXX milliárd Ft.

A Technológia-értékelő Főosztály megjegyzi, hogy a költségvetési hatás becslése során a Kérelmező nem számolt dóziscsökkentéssel egyik vizsgált hatóanyag esetében sem.

7. A benyújtott elemzés limitációi

7.1. Orvosszakmai limitációk

A relatív hatásossági adatok indirekt összehasonlításból származnak, az elemzés komparátoraival szemben a TTSTAND-sebesség, TTRW-sebesség, 6MWT, NSAA, biztonságosság végpontokon (kivétel a testmagasság) szignifikáns különbség nem tapasztalható, így a klinikai többletelőny megléte nem igazolható.

Az elemzésben megfigyelt különbségek a vamorolon és a klasszikus kortikoszteroidok között statisztikai bizonytalansággal terheltek. A különbségek nagysága többnyire a minimálisan klinikailag jelentős eltérés küszöbértéke körül mozgott, számos esetben pedig az alatt maradt. Ez arra utal, hogy a nullhipotézis nem zárható ki egyértelműen, tehát bizonytalan, hogy a mért eltérések valóban elérik-e a klinikai szempontból releváns mértéket.

Az indirekt összehasonlítás során a p-értékekre nézve nem történt korrekció a többszörös összehasonlítás okán, így egyes „szignifikáns” eredmények véletlenszerűek is lehetnek. I típusú hiba kockázata fennáll.

Az indirekt összehasonlítás során a PRO végpontokra nem történt összehasonlító elemzés.

A vamorolon hosszútávú biztonságossága és a testmagasságra gyakorolt pozitív hatása az adatok hiányának okán nem bizonyított.

Az indirekt összehasonlítás során az antropometriai adatokon kívül egyéb biztonságosságra vonatkozó végpontban nem történt összevetés. A kérelemben szereplő a 6.3.1.4. részben bemutatott a nemkívánatos eseményeket tartalmazó összehasonlító táblázatok (15. és 16. sz. táblázatok) forrása nem ismert és a data on file publikációban sem található meg.

A VISION-DMD és a FOR-DMD vizsgálok interim analízisei eltérő időpontokban zajlottak (VISION-DMD: 12, 24, 48 hét vs. FOR-DMD: 26 és 52 hét), A VISION-DMD vizsgálatban a vamorolonnal történő kezelés és követési idő rövidebb időtartamú volt, mint a FOR-DMD vizsgálatban a prednizon és a deflazakort terápia kezelés időintervalluma.

A VISION-DMD esetében a vizsgálat a COVID-19 pandémia idején zajlott, ezért azoknál a betegeknél, akik nem tudtak személyesen megjelenni online történt a vizsgálat.

A VISION-DMD vizsgálatban a kis betegszám és az alkalmazott vizsgálati elrendezés torzítási kockázatot hordoz, ezért a relatív hatásosságra és biztonságosságra vonatkozó következtetések bizonytalanságot hordoznak.

A VISION-DMD vizsgálatban változás történt a másodlagos végpontok sorrendjén. A 48. hétre vonatkozó hatékonysági elemzésekre nem történt korrekció, így az ott kapott p-értékek feltárási jellegűnek tekintendők.

A VISION-DMD vizsgálatban nem vizsgálták a FVC (%) végpontot, szemben a FOR-DMD vizsgálatban, ahol az elsődleges végpontok között szerepelt.

Nincs konszenzus az optimális alkalmazandó szteroid adagolást illetően a DMD kezelésében. A terápia során alkalmazott dózisokat az egyénre szabottan határozzák meg.

A FOR-DMD esetében 4-<8 éves betegek kerültek bevonásra, míg a VISION-DMD esetében 4-<7 éves betegek.

A FOR-DMD vizsgálatban megengedett volt a biszfoszfonátok alkalmazása ellentétben a VISION-DMD vizsgálattal.

A FOR-DMD vizsgálat eredetileg 300 beteggel indult (100/csoport), ami >80%-os statisztikai erőt biztosított ~0,5 SD különbség kimutatására az elsődleges végpont legalább két komponensében. A 2015 júliusában, 90 fő 12 hónapos követése után végzett interim elemzés során a lassú toborzás és a három elsődleges végpont közötti gyenge korreláció ($0 < r < 0,25$) miatt a szükséges mintanagyságot 225 főre csökkentették a biztonsági és adatmonitorozó bizottság jóváhagyásával.

A FOR-DMD vizsgálatban az eredeti „felállási idő” végpontot a követés lezárulta után, de az adatbázis zárolása és vakosítás feloldása előtt módosították, hogy kezelni lehessen a padlóról felállni már nem képes résztvevők adatait.

Az NSAA végpont a VISION-DMD klinikai vizsgálatban kezdetben másodlagos végpontként szerepel, majd feltárási végpontként tüntették fel a végső adatelemzések során. A FOR-DMD vizsgálatban ugyancsak másodlagos végpontként szerepel az NSAA végpont.

A kérelmezett indikáció a 4 éves és annál idősebb betegpopulációra terjed ki. Ugyanakkor nem állnak rendelkezésre klinikai vizsgálati adatok 8 évesnél idősebb korcsoportból, és nem ismert, hogy a vamorolon hatóanyag milyen biztonsági és hatásossági profillal rendelkezik pubertáskorú, illetve annál idősebb fiúgyermek esetében.

7.2. Egészség-gazdaságtani limitációk

Az egészség-gazdaságtani elemzés legfontosabb limitációja, hogy a „7a (önellátásra nem képes, éjszakai lélegeztetést igényel)” egészségi állapotban nem kerültek elszámolásra azok a betegek, akik a korábbi ciklusban is már ebben az állapotban voltak. Emiatt az egészség-gazdaságtani modellben a vamorolon karon az 5. ciklustól kezdve a modellezett betegek összesített száma alacsonyabb, mint a kiindulási betegszám. Ezáltal a benyújtott egészség-gazdaságtani modell (és ennél fogva az erre alapozott egészség-gazdaságtani elemzés) döntés-előkészítési célú felhasználásra nem alkalmas.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a Kérelmező az elemzésben figyelembe vette a gondozókra háruló terhet és az ezzel összefüggő hasznosságcsökkenést is. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a beteget gondozók életminőség csökkenése egy jól számszerűsíthető, az egészségnyereséget befolyásoló bizonytalansági tényező, mely jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a Kérelmező a vamorolon esetén stop szabályt alkalmazott, a betegek csak az éjszakai légzéstámogatás elkezdéséig kaphatnak kezelést, míg a komparátorok esetén a terápia élethosszig tart. A vamorolon alkalmazási előírása nem határozza meg a terápia időtartamát, valamint kitér arra, hogy a készítmény enterális tápszondán keresztül is adagolható. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a vamorolon kezelés esetén alkalmazott stop szabály egy jól számszerűsíthető, az inkrementális költségeket és az egészségnyereséget is befolyásoló bizonytalansági tényező, mely jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a modellben minden karon dóziscsökkentéssel számolt a Kérelmező, azonban a vamorolon esetében nem támasztotta alá az alkalmazott csökkentett dózist, és annak életminőségre gyakorolt hatását. A komparátor karokon a dóziscsökkentés hatására megváltoznak az egyes egészségi állapotok közötti átmeneti valószínűségek értékei, míg a vamorolon karon a maximális dózis és a csökkentett dózis esetén is azonos átmeneti valószínűségeket használtak. A vamorolon karon a dóziscsökkentés hatására csak a mellékhatások aránya csökken, melyet a Kérelmező a FOR-

DMD klinikai vizsgálatban a prednizon napi és intermittáló adagolás mellékhatásokra vonatkozó hatásbeli különbség alapján becsült. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a vamorolon dóziscsökkenése egy jól számszerűsíthető, az inkrementális költségeket és az egészségnyereséget is befolyásoló bizonytalansági tényező, mely jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a deflazakortnak nincsen publikus ára, a Kérelmező a Norvégiában érvényes referenciaár alapján határozta meg a számításaihoz használt költséget. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a komparátor deflazakort ára egy nem számszerűsíthető, az inkrementális költségeket befolyásoló bizonytalansági tényező, mely jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a Kérelmező a Prednisolon-Richter 5 mg tableta, 100x esetén hibás összeggel számolt. Az egészség-gazdaságtani elemzésben a komparátor prednizon ára egy jól számszerűsíthető, az inkrementális költségeket befolyásoló bizonytalansági tényező, mely nem jelentős.

Az egészség-gazdaságtani elemzés további limitációja, hogy a modellezett időtáv túlságosan hosszú. Szakirodalmi adat alapján „DMD-ben szenvedő, lélegeztetőgépen lévő betegek születéskori átlagos és súlyozott átlagos várható élettartama 29,9 (95% CI 26,5–30,8) és 31,8 év (29,3–36,2)”. Ez alapján a választott 72 éves időtáv túlzó. Az egészség-gazdaságtani elemzés időtávja egy jól számszerűsíthető, az inkrementális költségeket és az egészségnyereséget is befolyásoló bizonytalansági tényező, mely nem jelentős.

8. Nemzetközi kitekintés

A kanadai CDA-AMC 2025.07.18-án közzétett beteg és klinikai szakmai összefoglaló alapján a készítmény technológia-értékelése folyamatban van. A kérelmező a 2 éves és annál idősebb betegpopulációra nyújtotta be támogatási kérelmét.

A francia HAS 2024.06.18.-án publikált közleményében támogatja a készítmény támogatásba történő befogadását, ugyanakkor az értékelő bizottság kiemeli, hogy az off-label alkalmazott prednizonhoz képest, nem nyújt klinikai többletértéket.

A német IQWiG 2024.04.15.-én kelt értékelésében a német finanszírozási eljárásrend gyakorlata szerint a ritka betegségek gyógyszereinek hozzáadott terápiás értéke az engedélyezés tényével automatikusan igazoltnak tekintendő, így az értékelés kizárólag a betegszám- és költségadatok vizsgálatára korlátozódik.

Az angol NICE 2025.01.16.-án publikált közleményében ajánlja a készítmény támogatásba történő befogadását a 4 éves és attól idősebb DMD-ben szenvedő betegek számára. Bár a vamorolon más kortikoszteroidokhoz viszonyított relatív hatásossága bizonytalan, potenciális előnyt jelenthet a mellékhatások mérséklésében.

A skót SMC 2025.01.13.-án publikált közleményében a vamorolon (Agamree®) az orphan gyógyszerekre vonatkozó értékelési eljárás keretében elfogadásra került az NHS Scotland részéről, 4 éves és idősebb DMD-betegek kezelésére.

9. Konklúzió

A klinikai bizonyítékokon alapuló többletelőny mértékének TEF által javasolt besorolása szerint a vamorolon terápia nyújtotta klinikai többletelőny *megléte* nem igazolható a prednizon és a deflazakort terápia komparátorokhoz viszonyítva, a klinikailag relevánsnak tekinthető TTSTAND-sebesség, TTRW-sebesség, 6MWT, NSAA, biztonságosság végpontokon. A rendelkezésre álló indirekt összehasonlításban a magasságot vizsgáló biztonságossági végpontban többletelőny igazolódott a vamorolon estében a komparátorokkal (prednizon,



deflazakort) szemben. Ezt alacsony evidencia szintű, indirekt összehasonlításból származó orvosszakmai bizonyítékok támasztják alá.

A megjelölt indikációban fennáll a kielégítetlen terápiás szükséglet (unmet (highly unmet) medical need).

A Kérelmező által készített egészség-gazdaságtani elemzés eredménye nem alkalmas döntéselőkészítési célra történő felhasználásra. A Technológia-Értékelő Főosztály által kialakított alternatív alapesetek alapján a vamorolon nem költséghatékony sem a prednizon, sem a deflazakort komparátorokkal szemben. Az alternatív alapeset alapján hazai körülmények között legalább XX%-os árcsökkenés lehet szükséges a vamorolon költséghatékonyságának igazolásához a prednizzal szemben. Az Agamree társadalombiztosítási támogatásba vétele egyértelműen támogatáskiáramlást eredményezne a finanszírozó részére.