



Opinia Rady Przejrzystości

nr 13/2026 z dnia 26 stycznia 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną dornasum alfa w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. pierwotna dyskineza rzęsek

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dornasum alfa we wskazaniu pozarejestacyjnym: pierwotna dyskineza rzęsek.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających dornazę alfa we wskazaniu: pierwotna dyskineza rzęsek (PCD – primary ciliary dyskinesia). Rada Przejrzystości kilkakrotnie pozytywnie opiniowała wymienioną substancję czynną w odniesieniu do ww. wskazania – ostatnia ORP nr 33/2023 z dnia 6 marca 2023 r, a wcześniej w 2020 i 2017 roku.

PCD to rzadkie, genetycznie heterogenne, pierwotne zaburzenie układu oddechowego charakteryzujące się przewlekłą chorobą górnych i dolnych dróg oddechowych. Obliczana częstość występowania PCD wynosi od 1/15000 do 1/30000 żywych urodzeń i prawdopodobnie jest niedoszacowana.

Dornaza alfa jest rekombinowaną ludzką dezoksyrybonukleazą, wytwarzaną metodami inżynierii genetycznej; jest odpowiednikiem ludzkiego enzymu, hydrolizującego DNA zawarte w płwocinie przez co znacznie zmniejsza jej lepkość. Mimo słabych dowodów naukowych jest ona stosowana w PCD i jest uważana za skuteczną w praktyce klinicznej.

Dowody naukowe

Odnaleziono jedno badanie, którego wyniki opublikowano od daty wydania poprzedniej opinii Rady. Opisano je w European Respiratory Journal w materiałach zjazdowych z European Respiratory Society International

Congress, ERS Wiedeń 2024. W grupie 10 pacjentów z PCD po zastosowaniu dornazy stwierdzono poprawę jakości życia i zmniejszenie zaostrzeń bez wpływu na czynność płuc, w odróżnieniu od grupy pacjentów z rozstrzeniami oskrzeli o różnej etiologii, innej niż mukowiscydoza.

Nie odnaleziono nowych rekomendacji towarzystw naukowych dotyczących zastosowania dornazy alfa we wskazaniu pierwotna dyskineza rzęsek.

W odnalezionych pracach poglądowych (O'Connor_2023: Primary Ciliary Dyskinesia; Wrona_2025: Primary Ciliary Dyskinesia—Current Diagnostic and Therapeutic Approach) wskazuje się na skuteczność stosowania dornazy u chorych z dyskinezą rzęsek.

We wcześniejszych opracowaniach AOTMiT przytoczono prace przeglądowe, których autorzy zwracali uwagę na brak wysokiej jakości dowodów naukowych na skuteczność jakiegokolwiek terapii w pierwotnej dyskinezie rzęsek. Zalecane jest elastyczne i zindywidualizowane podejście do pacjenta. Stosowane schematy leczenia oparte są na zaleceniach dotyczących innych przewlekłych chorób płuc, najczęściej mukowiscydozy. W trakcie leczenia powinno się zwracać uwagę na utrzymanie czystości dróg oddechowych, racjonalne wykorzystanie antybiotyków w trakcie występujących infekcji bakteryjnych oraz unikanie szkodliwych czynników zewnętrznych, które mogą prowadzić do zaostrzeń choroby.

Uwzględniając powyższe dane Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną dornasum alfa we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Główne argumenty decyzji

- *Wcześniejsze pozytywne opinie Rady;*
- *Brak nowych danych klinicznych i wytycznych, które poddawałyby w wątpliwość skuteczność i bezpieczeństwo leczenia i stanowiłyby przesłankę do zmiany wcześniejszej decyzji;*
- *Uznane, stosowane od lat leczenie w tej małej populacji pacjentów.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).