



BP.401.36.2024.PP

**Protokół z posiedzenia  
Rady Przejrzystości 41/2024  
w dniu 30 września 2024 roku**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 7 osób):

1. Małgorzata Bała
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Małgorzata Dziędziak
4. Elżbieta Lanc
5. Tomasz Młynarski
6. Ewa Obuchowicz
7. Tomasz Pasierski
8. Zbigniew Siudak
9. Anna Socha-Banasiak

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Aleksandra Zasada

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa” jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne” jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Enspryng (satralizumabum) w ramach programu lekowego B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMO SD) (ICD-10: G36.0)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Imjudo (tremelimumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Imfinzi (durvalumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji objęcia refundacją substancji czynnych Amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia.
8. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Tomasz Pasierski zadeklarował konflikt interesów dotyczący punktu 5 i 6 proponowanego porządku obrad. Wobec tej informacji jego głos będzie liczony jako „wstrzymujący”.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła porządek obrad.

**Ad 2.** Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie zbadania zasadności zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej „Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa” oraz „Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne” jako świadczeń gwarantowanych.

W trakcie prezentacji po zadeklarowaniu braku powiązań branżowych do posiedzenia dołączyła Aleksandra Zasada.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak, Zbigniew Siudak i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady dla tematu „Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa” przedstawił Zbigniew Siudak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak i Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko w sprawie (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Zbigniew Siudak przedstawił projekt stanowiska „Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne”.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko w sprawie (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji zaprezentował główne informacje w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Enspryng (satralizumabum).

We wstępnej dyskusji uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Dziedziak, Tomasz Młynarski i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Dziedziak i Aleksandra Zasada.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji zaprezentował główne informacje z raportu Imjudo (tremelimumabum) w skojarzeniu z Imfinzi (durvalumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.

Rada wysłuchała stanowisk ekspertów.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Anna Socha-Banasiak, Ewa Obuchowicz i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady dla produktu leczniczego Imjudo przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała i Anna Socha-Banasiak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie 8 głosami „za”, 1 głosem „przeciw” oraz 1 głosem „wstrzymującym” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Anna Socha-Banasiak przedstawiła projekt stanowiska dla produktu leczniczego Imfinzi (durvalumab).

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski i Anna Socha-Banasiak.

Elżbieta Lanc opuściła posiedzenie.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, 1 głosem „przeciw” oraz 1 głosem „wstrzymującym” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7.** Anna Czerniecka-Kubicka przedstawiła projekt opinii dotyczący kontynuacji objęcia refundacją połączenia substancji czynnych Amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

**Ad 8.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:30.



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 98/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa”  
jako świadczenia gwarantowanego**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „70.321 Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego, zgłaszając następujące uwagi:*

- należałoby doprecyzować kryteria włączenia i wyłączenia w przypadku podjęcia decyzji o włączeniu ww. leczenia do wykazu świadczeń gwarantowanych;*
- niezbędne będzie przeprowadzenie pełnego procesu wyceny powyższego świadczenia i oceny wpływu na budżet płatnika.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Endometrioza (wg ICD-10: N80 Gruczolistość) to choroba, w której komórki endometrium występują poza jamą macicy, powodując reakcje zapalne, krwawienia, tworzenie się guzków, blizn i zrostów. Choroba może prowadzić do niepłodności, przewlekłego bólu oraz obniżenia jakości życia. Choroba dotyka 6-10% kobiet w wieku rozrodczym.*

*Chorobę rozpoznaje się na podstawie objawów, tj. bolesne miesiączkowanie, dyspareunia, przewlekły ból brzucha oraz badań obrazowych i histopatologicznych.*

*Leczenie obejmuje metody farmakologiczne, chirurgiczne oraz skojarzone. W ramach leczenia chirurgicznego wskazuje się zachowawcze leczenie chirurgiczne (celem jest usunięcie ognisk choroby) oraz radykalne leczenie chirurgiczne (usunięcie macicy wraz z jajnikami). Metody leczenia chirurgicznego obejmują operacje otwarte (laparotomia) oraz operacje laparoskopowe.*

*Ocenianą technologię medyczną stanowi procedura opatrzona kodem ICD-9: 70.321 Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa.*

Leczenie chirurgiczne endometriozy finansowane ze środków publicznych w Polsce obejmuje laparotomię i laparoskopię. Zabiegi te finansowane są w ramach jednorodnych grup pacjentów (dalej JGP), zgodnie z warunkami określonymi w zarządzeniu nr 37/2024/DSOZ Prezesa NFZ. Do grup JGP, których charakterystyka zawiera rozpoznanie endometriozy (ICD-10: N80 Gruczolistość) zaliczają się grupy z sekcji M (Choroby żeńskiego układu rozrodczego): M02, M03, M04, M13, M14, M15, M26. Dodatkowo, jak wynika z danych z rzeczywistej praktyki klinicznej, zabiegi związane z uwolnieniem zrostów otrzewnowych rozliczane są w ramach grup z sekcji F (Choroby przewodu pokarmowego), głównie F42 Duże zabiegi jamy brzusznej oraz F43F Średnie i endoskopowe lecznicze zabiegi jamy brzusznej <66 r.ż.

### Dowody naukowe

Odnaleziono pięć dokumentów dotyczących leczenia chirurgicznego endometriozy (PTGiP 2023, ESHRE 2022, RANZCOG 2022, ESGE 2019, NICE 2017). W 3-ech dokumentach (PTGiP 2023, RANZCOG 2022, NICE 2017) wskazuje się, że techniką z wyboru w leczeniu operacyjnym endometriozy jest laparoscopia, chyba że istnieją przeciwwskazania do jej wykonania, lub szczególne wskazania do wykonania laparotomii.

Według wytycznych PTGiP 2023 wskazaniami do podjęcia leczenia operacyjnego u pacjentek z endometriozą głęboką powinny być: (1) istotne dolegliwości bólowe mimo zastosowanego leczenia farmakologicznego, (2) zastój moczu w nerkach, (3) objawowe lub krytyczne (<80%) zwężenie jelita. Z kolei wytyczne ESHRE 2022 podkreślają, że obecnie nie ma markerów prognostycznych, które pozwoliłyby na wybór pacjentek odnoszących korzyści z operacji.

W większości dokumentów nie odnoszono się bezpośrednio do leczenia zmian endometrialnych zlokalizowanych w obrębie zatoki Douglasa. Jedynie w wytycznych ESHRE 2022 przedstawiono wyniki dotyczące jakości życia i bólu pacjentek z histologicznie potwierdzoną głęboką endometriozą w obszarze zatoki Douglasa, które zostały poddane laparoskopowemu wycięciu (Douglasectomy) w nierandomizowanym badaniu porównawczym. W wytycznych ESGE 2019 przytoczono zatokę Douglasa w kontekście informacji dotyczących leczenia pacjentek z tzw. „zamrożoną miednicą”.

Eksperti kliniczni wskazali, że oceniane procedury powinny być finansowane ze środków publicznych ze względu na częstość występowania endometriozy wśród kobiet, wpływ choroby na obniżenie jakości życia, płodność pacjentek oraz niezdolność do pracy.

Kryteria kwalifikacji powinny obejmować rozpoznanie endometriozy wymagającej leczenia chirurgicznego, zgodnie z najnowszymi rekomendacjami towarzystw naukowych, szczególnie gdy leczenie farmakologiczne jest nieskuteczne i występują trudności z zajściem w ciążę. Kryteria wykluczenia

dotyczą przede wszystkim przeciwwskazań do laparoskopii i niewystarczającego leczenia zachowawczego.

Według opinii dwóch ekspertów, zabiegi wycięcia lub zniszczenia ognisk endometriozy w zatoce Douglasa aktualnie realizowane są w praktyce klinicznej w Polsce. Świadczenia te rozliczane są najczęściej procedurą ICD-9: 54.4 Wycięcie tkanek/narządów w otrzewnej przy rozpoznaniu ICD-10: R10.3 Ból zlokalizowany w innych częściach podbrzusza i K66.9 Choroby otrzewnej, nieokreślone w ramach grupy JGP F42 Duże zabiegi jamy brzusznej.

#### Problem ekonomiczny

Leczenie chirurgiczne endometriozy jest finansowane ze środków publicznych w ramach systemu jednorodnych grup pacjentów (JGP), których warunki finansowania określone są zarządzeniem nr 37/2024/DSOZ Prezesa NFZ. Dedykowane produkty rozliczeniowe w ramach JGP, których charakterystyka zawiera rozpoznania endometriozy (ICD-10: N80 Gruczolistość) obejmują grupy M02 (Duże zabiegi dolnej części układu rozrodczego), a także grupy: M03, M04, M13, M14, M15, M26.

Analiza danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ wykazała, że opieka nad pacjentkami z endometriozą i leczenie zabiegowe realizowane są również w innych JGP w ramach sekcji „F”, takich jak: F42 Duże zabiegi jamy brzusznej (w charakterystyce zawarto procedurę wg ICD-9 54.514 Uwolnienie zrostów otrzewnowych otrzewnej miednicy metodą otwartą) oraz F43F Średnie i endoskopowe lecznicze zabiegi jamy brzusznej < 66 r.ż. (zawiera procedurę wg ICD-9 54.514 54.524 Uwolnienie zrostów otrzewnowych otrzewnej miednicy – laparoskopowo).

W kontekście powyższego zaznaczyć należy, że leczenie zabiegowe endometriozy (laparoscopia i laparotomia) w aktualnych warunkach finansowania ze środków publicznych nie uwzględnia procedury związanej z wycięciem ogniska gruczolistości śródmaciczej zlokalizowanego w obrębie zatoki Douglasa, z uwagi na brak szczegółowych procedur wg ICD-9 określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, odnoszących się do leczenia zabiegowego endometriozy w poszczególnych lokalizacjach (w tym w zatoce Douglasa).

W oszacowaniu wydatków związanych z finansowaniem ze środków publicznych leczenia chirurgicznego endometriozy zlokalizowanej w zatoce Douglasa z perspektywy płatnika publicznego odstąpiono od przedstawienia wyników w postaci kosztów inkrementalnych, ze względu na brak możliwości oszacowania aktualnie ponoszonych wydatków płatnika publicznego w tym zakresie.

W odniesieniu do procedury Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa, szacowana populacja docelowa – w rozumieniu liczby operacji

leczenia endometriozy zlokalizowanej w zatoce Douglasa – będzie obejmowała około 900-2700 zabiegów rocznie (prognoza na rok 2025 r.).

Oszacowane prognozowane wydatki płatnika publicznego wyniosą od kilku do kilkunastu milionów złotych rocznie. Na wyniki szacowanych wydatków płatnika publicznego mają wpływ głównie założenia dotyczące: (1) całkowitej liczby zabiegów leczenia operacyjnego, (2) odsetka operacji wykonywanych w przypadku endometriozy w zatoce Douglasa (20-60%) oraz (3) wysokości założonych kosztów dla pojedynczej interwencji. Założono koszt zabiegu na podstawie produktu rozliczeniowego 5.51.01.0012002, M03 Duże zabiegi dolnej części układu rozrodczego.

W przypadku podjęcia decyzji o włączeniu do wykazu świadczeń gwarantowanych świadczenia związanego z leczeniem chirurgicznym endometriozy zlokalizowanej w zatoce Douglasa niezbędne będzie przeprowadzenie pełnego procesu wyceny powyższego świadczenia.

#### Główne argumenty decyzji

- 1) Istotny problem kliniczny dotyczący nawet 10% populacji kobiet w wieku rozrodczym;
- 2) Wytyczne oraz zalecenia towarzystw naukowych i zgodne opinie ekspertów odnośnie leczenia endometriozy;
- 3) Jednocześnie należy zauważyć, że leczenie operacyjne (głównie laparoskopowe) w wymienionych wskazaniach jest już w Polsce realizowane w ramach innych grup rozliczeniowych i celem niniejszej analizy było doprecyzowanie i wyodrębnienie leczenia chirurgicznego we wskazanej lokalizacji.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu analitycznego nr: WS.420.15.2024 „Analiza zasadności kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej • Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa • Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne w leczeniu endometriozy”, data ukończenia: 25.09.2024 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 99/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej  
„Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne”  
jako świadczenia gwarantowanego**

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „70.329 Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Analizowany problem jest powiązany z wydaniem stanowiska Rady w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.*

*Ocenianą technologię medyczną stanowi procedura opatrzona kodem ICD-9: 70.329 Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne. W KŚOZ nie określono zakresu procedury 70.329, również na podstawie wyników prac analitycznych nie było możliwe dodefiniowanie wskazanej procedury, w kontekście jakie „inne” zmiany zlokalizowane w obrębie zatoki Douglasa są wycinane lub niszczone, poza ogniskiem gruczolistości śródmaciczej, uwzględnionym w procedurze o kodzie ICD-9: 70.321 Wycięcie ogniska gruczolistości śródmaciczej z zatoki Douglasa.*

*Dowody naukowe*

*Eksperci nie dodefiniowali nazwy dla procedury 70.329. Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne, w kontekście „innych” zmian wycinanych lub niszczonej w obrębie zatoki Douglasa. Wskazali jedynie, że procedura może dotyczyć zniszczenia ognisk endometriozy, bez lub z częściowym ich usunięciem, rozumiana jako procedura mniej radykalna, łatwiejsza do wykonania, wskazująca na wymagane mniejsze doświadczenie oraz umiejętności chirurga.*

*Problem ekonomiczny*

*Ze względu na brak możliwości dodefiniowania procedury 70.329 Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne, a co za tym idzie określenia*



*kryteriów klinicznych kwalifikacji przekładających się na konkretną populację docelową, odstąpiono od oszacowania kosztów tej procedury.*

*Główne argumenty decyzji*

- 1. Brak doprecyzowania i zdefiniowania populacji docelowej.*
- 2. Brak danych klinicznych.*
- 3. Brak możliwości dokonania wyceny oraz skutków finansowych dla płatnika.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu analitycznego nr: WS.420.15.2024 „Analiza zasadności kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej • Wycięcie ogniska gruczolistości śródmacicznej z zatoki Douglasa • Wycięcie lub zniszczenie zmiany w zatoce Douglasa – inne w leczeniu endometriozy”, data ukończenia: 25.09.2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 100/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie oceny leku Enspryng (satralizumab) w ramach programu  
lekowego „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów  
wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Enspryng (satralizumab), roztwór do wstrzykiwań, 120 mg, ampułkostrzykawka 1 ml, kod GTIN: 07613326032322, w ramach programu lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Produkt leczniczy Enspryng (satralizumab) od dnia 1 listopada 2022 roku uzyskał refundację w ramach programu lekowego B.138.FM. jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (kategoria A), finansowana w ramach Funduszu Medycznego. Aktualna decyzja dot. kontynuacji refundacji w innym trybie.*

Dowody naukowe

*Satralizumab to rekombinowane humanizowane przeciwciało monoklonalne z klasy immunoglobuliny G2 (IgG2), które wiąże się z rozpuszczalnym i związanym z błoną komórkową ludzkim receptorem IL-6 (IL-6R), zapobiegając w ten sposób dalszej sygnalizacji IL-6 za pośrednictwem tych receptorów. Funkcje IL-6 są związane z patogenezą NMO (zapalenie rdzenia i nerwów wzrokowych, ang. neuromyelitis optica) i NMOSD (klasyfikacja NMOSD wg. Międzynarodowego Panelu Diagnostyki NMO (ang. International Panel for NMO Diagnosis, IPND, 2015). Stężenie IL-6 w płynie mózgowo-rdzeniowym i surowicy jest podwyższone w okresach aktywności choroby u pacjentów z NMO i NMOSD. NMOSD to rzadkie, ciężkie, autoimmunologiczne zaburzenia funkcjonowania ośrodkowego układu nerwowego o charakterze zapalno-demielinizacyjnym. Dowody sugerują, że 60%-90% pacjentów z NMOSD będzie seropozytywnych względem immunoglobuliny G anty-akwaporyny-4 (AQP4-IgG), a obecność przeciwciał anty-AQP4 stanowi swoistą podstawę do rozróżnienia tej jednostki chorobowej ze stwardnieniem rozsianym SM (ang. sclerosis*

*multiplex).*

*Przebieg NMOSD najczęściej cechuje się występowaniem ciężkich rzutów choroby, które prowadzą do postępującej i nieodwracalnej niepełnosprawności. Powikłaniem choroby jest ciężki, uporczywy ból neuropatyczny. Częstsze rzuty choroby są skorelowane z obecnością w surowicy krwi wysokiego miana przeciwciał anty-AQP4. Choroby ze spektrum NMOSD obarczone są niekorzystnym rokowaniem ze względu na fakt, że niepełnosprawność pacjenta zależna jest od rzutów choroby. U ok. połowy chorych z NMO i NMOSD po 7 latach trwania choroby pojawiają się znaczne zaburzenia funkcji ruchowych, z powodu których zachodzi konieczność korzystania z wózka inwalidzkiego. Wskaźnik śmiertelności pacjentów z NMOSD jest wysoki – w przypadku NMO i NMOSD śmiertelność po 5 latach trwania choroby wynosi szacunkowo od 25 do 30%, natomiast samego NMO – 80%.*

*Jako kryteria włączenia do programu lekowego B.138.FM przyjęto:*

- 1. Wiek powyżej 12 roku życia.*
- 2. Rozpoznanie chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego (NMOSD) – oparte na aktualnych kryteriach diagnostycznych.*
- 3. Potwierdzenie obecności przeciwciał anty-AQP4.*
- 4. EDSS od 0 do 6,5 włącznie.*
- 5. Brak przeciwwskazań do stosowania satralizumabu określonych w aktualnej Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).*
- 6. Brak wcześniejszego leczenia inną terapią z zastosowaniem leków z grupy inhibitorów interleukiny 6.*

*Brak jest dowodów na pozytywny wpływ terapii na jakość życia i występowanie niesprawności.*

#### *Problem ekonomiczny*

*Terapia jest wyjątkowo nieefektywna kosztowo ( [redacted] ).*

*Liczba pacjentów zgłoszonych do programu lekowego B.138.FM w okresie obowiązywania decyzji refundacyjnej, tj. 01.11.2022 r. do dnia 28.06.2024 r. wynosiła 68 osób, z których 60 osób było leczonych satralizumabem.*

#### *Główne argumenty decyzji*

- 1. Badania kliniczne nie wskazują jednoznacznie na wyższą skuteczność i lepszą tolerancję satralizumabu w długoterminowej terapii w porównaniu do terapii standardowych stosowanych w praktyce klinicznej, w szczególności terapii rytuksymabem.*
- 2. Na podstawie wytycznych klinicznych stwierdzono, że istnieją również inne opcje terapeutyczne w leczeniu pacjentów z NMOSD AQP4-IgG+, które*

są zalecane na równi z satralizumabem, m.in. rytuksymab – refundowany w Polsce w innych niż oceniane wskazaniach. Prezes AOTMiT pozytywnie zaopiniował natomiast zasadność finansowania ze środków publicznych leku MabThera (rytuksymab) we wskazaniu: choroba Devica (ICD-10: G36), w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych.

3. Uzyskane wyniki wskazują na znaczący brak efektywności kosztowej terapii z wykorzystaniem satralizumabu.
4. Terapia miałaby bardzo duży wpływ na budżet płatnika.

#### Uwagi Rady

Rytuksymab mógłby stanowić opcję terapeutyczną pierwszego wyboru dla pacjentów w Polsce po objęciu go refundacją we wskazaniu pozarejestacyjnym, tj. w leczeniu chorych z NMOSD, u których występują przeciwciała AQP4-IgG.

#### **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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: WS.423.1.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Enspryng (satralizumab) w ramach programu lekowego B.138.FM. Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G.36.0)”, data ukończenia: 19.09.2024 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Roche Polska Sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a-4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Roche Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 101/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie oceny leku Imjudo (tremelimumab) w ramach programu  
lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34)  
oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imjudo (tremelimumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1,25 ml, GTIN 05000456037105, w ramach terapii skojarzonej z produktem leczniczym Imfinzi (durwalumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 10 ml, GTIN 05000456031493, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztu terapii do poziomu kosztu terapii najtańszym komparatorem.*

*Rada Przejrzystości zgłasza uwagę do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka - [REDACTED]. Konieczna jest nowa propozycja RSS.*

*Rada zgłasza nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Rak płuca jest chorobą niejednorodną, która może różnić się podtypem histologicznym, agresywnością (stopniem zróżnicowania) oraz obecnością tzw. predykcyjnych czynników molekularnych. Jednym z najczęstszych (80-85%) jest niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP). Większość pacjentów z rakiem płuca jest diagnozowana, w stadium zaawansowanym (z przerzutami) i nie może być leczona z wykorzystaniem resekcji chirurgicznej. Znaczny odsetek pacjentów chorujących na NDRP, u których zastosowano leczenie chirurgiczne, doświadcza nawrotów, które prowadzą do zgonu w wyniku choroby przerzutowej. Zgodnie z bazą GLOBOCAN, w 2020 roku rozpoznano w Polsce blisko 30 tys. nowych przypadków raka płuca, co stanowiło ponad 14% wszystkich zdiagnozowanych nowotworów złośliwych. W większości (ok. 85%) diagnozowany jest NDRP.*

Całkowita liczba zgonów z powodu raka płuca wyniosła w 2020 roku 27 444 (23%).

Zgodnie z Mapami Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) w zakresie onkologii przewiduje się, że w 2029 roku odnotowanych zostanie ponad 32,5 tys. nowych zachorowań na nowotwory złośliwe płuc. Wg opinii Konsultanta Krajowego w dz. onkologii klinicznej, szacuje się, że obecna liczba chorych w przypadku 1. linii leczenia NDRP płaskonabłonkowego lub nieokreślonego z ekspresją PD-L1 poniżej 50% wynosi ok. 2,8 tys. (blisko 20% skorzysta z wnioskowanej terapii), a w przypadku niepłaskonabłonkowego – 3 tys. chorych (ok. 30% skorzysta z terapii wnioskowanej w wyniku refundacji).

### Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego dla terapii durwalumabem + tremelimumabem + chemioterapią opartą na platynie (D+T+CTH) nie zidentyfikowano badań bezpośrednio porównujących jej skuteczność z wybranymi komparatorami w populacji dorosłych pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) w stadium rozsiewu i z ekspresją PD-L1 <50%. Uwzględnione w przeglądzie badania pierwotne dotyczyły porównania wnioskowanej interwencji z samą chemioterapią (CTH; RCT POSEIDON) lub schematem durwalumab + tremelimumab (D+T; RCT CCTG BR34). Zgodnie z wynikami badania POSEIDON, terapia D+T+CTH w porównaniu z samą CTH w populacji z rozsiałym NDRP z ekspresją PD-L1<50%, wiąże się z istotnie dłuższą medianą przeżycia całkowitego – OS (13,3 mies. vs 12 mies.; wg Garon 2024) oraz niższym ryzykiem zgonu o blisko 18%, natomiast wynik ten był na granicy istotności statystycznej (HR=0,82; 95%CI: 0,68; 1,00; p=0,057; cut-off: 12.03.2021). W RCT CCTG BR34 osiągnięto istotnie statystycznie niższe ryzyko progresji choroby dla D+T+CTH w stosunku do grupy leczonej D+T (HR=0,69; 95%CI: 0,51; 0,94; p<0,05; cut-off: 1.12.2019). W przypadku OS nie osiągnięto wyników istotnych statystycznie, natomiast mediana OS była nieznacznie wyższa w grupie kontrolnej o ok. 0,2 miesiąca. Do analizy klinicznej włączono również 4 przeglądy systematyczne z metaanalizami sieciowymi (Liu 2023, Li 2023, Sheng 2021 oraz Wenfan 2023), które dotyczyły populacji ogólnej z NDRP, bez wyodrębnienia danych w podgrupie z ekspresją PD-L1 <50%. W większości z nich nie odnotowano istotnych różnic dla analizowanych porównań technologii wnioskowanej z P+CTH czy N+I+CTH, zarówno dla punktów końcowych związanych z przeżyciem pacjenta, jak i bezpieczeństwa interwencji.

Najnowsze wytyczne amerykańskiej NCCN 2024 zalecają stosowanie durwalumabu + tremelimumabu (D+T) wraz z chemioterapią opartą na platynie oraz paklitakselu związanym z albuminą lub pemetreksedzie lub gemcytabinie jako „inną opcję zalecaną” w zakresie leczenia 1. linii pacjentów z zaawansowanym/przerzutowym NDRP z ekspresją PD-L1 <50%, w stanie sprawności 0-2. Inne wytyczne amerykańskie, tj. ASCO 2023, wskazują, że lekarze mogą oferować pacjentom terapię D+T wraz z chemioterapią opartą na pochodnych platyny zarówno w niepłaskonabłonkowym, jak i płaskonabłonkowym NDRP, z ekspresją PD-L1 <50%.

Wytyczne europejskie ESMO 2023 wskazują, że terapia D+T wraz z dubletem pochodnych platyny może być opcją leczenia niezależnie od histologii, w zaawansowanym NDRP z ECOG 0-1, niezależnie od statusu PD-L1 i bez przeciwwskazań do terapii inhibitorami immunologicznych punktów kontrolnych.

Wg opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej udział D+T+CTH będzie wynosił ok. 30%.

Chorzy na raka niepłaskonabłonkowego i w bardzo dobrym stanie sprawności oraz bez przerzutów w mózgu i wątrobie mogą stanowić grupę, która skorzysta najbardziej ze stosowania ocenianej technologii.

#### Problem ekonomiczny

Objęcie refundacją produktu leczniczego Imjudo (tremelimumab) w ramach terapii skojarzonej z produktem leczniczym Imfinzi (durwalumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)” spowoduje wzrost wydatków dla płatnika publicznego o kilkadziesiąt mln zł/rok.

Opublikowane zostały rekomendacje refundacyjne – francuska HAS 2023 i niemiecka G-Ba 2023. Wytyczne HAS 2023, wskazują na bardzo małą korzyść kliniczną omawianej terapii, natomiast wytyczne niemieckie G-Ba 2023 podkreślają brak dodatkowych korzyści w stosunku do analizowanych komparatorów.

#### Główne argumenty decyzji

- Analizowane leczenie dotyczy choroby onkologicznej, która stanowi istotny problem zdrowotny, a częstość jej występowania wzrasta.
- Skuteczność porównywalna z dotychczasowymi schematami leczenia.
- Pozytywna opinia towarzystw naukowych oraz Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej, dotycząca omawianej terapii.
- Aktualny koszt terapii stanowi duże obciążenie dla budżetu płatnik publicznego.



**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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.43.2024 „Imfinzi (durwalumab) + Imjudo (tremelimumab) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)«, data ukończenia: 18.09.2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902 ) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)<sup>1)</sup> i art. 35a 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 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** AstraZeneca AB

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, Merck Sharp & Dohme B.V.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233) i , art. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)<sup>1)</sup> i art. 35a 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 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, Merck Sharp & Dohme B.V.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 102/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie oceny leku Imfinzi (durwalumab) w ramach programu  
lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34)  
oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imfinzi (durwalumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 10 ml, GTIN 05000456031493, w ramach terapii skojarzonej z produktem leczniczym Imjudo (tremelimumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 20 mg/ml, 1,25 ml, GTIN 05000456037105, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztu terapii do poziomu kosztu terapii najtańszym komparatorem.*

*Rada Przejrzystości zgłasza uwagę do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka - [REDACTED]. Konieczna jest nowa propozycja RSS.*

*Rada zgłasza nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Rak płuca jest chorobą niejednorodną, która może różnić się podtypem histologicznym, agresywnością (stopniem zróżnicowania) oraz obecnością tzw. predykcyjnych czynników molekularnych. Jednym z najczęstszych (80-85%) jest niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP). Większość pacjentów z rakiem płuca jest diagnozowana, w stadium zaawansowanym (z przerzutami) i nie może być leczona z wykorzystaniem resekcji chirurgicznej. Znaczny odsetek pacjentów chorujących na NDRP, u których zastosowano leczenie chirurgiczne, doświadcza nawrotów, które prowadzą do zgonu w wyniku choroby przerzutowej. Zgodnie z bazą GLOBOCAN, w 2020 roku rozpoznano w Polsce blisko 30 tys. nowych przypadków raka płuca, co stanowiło ponad 14% wszystkich zdiagnozowanych nowotworów złośliwych. W większości (ok. 85%) diagnozowany jest NDRP. Całkowita liczba zgonów z powodu raka płuca wyniosła w 2020 roku 27 444 (23%).*

Zgodnie z Mapami Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) w zakresie onkologii przewiduje się, że w 2029 roku odnotowanych zostanie ponad 32,5 tys. nowych zachorowań na nowotwory złośliwe płuc. Wg opinii Konsultanta Krajowego w dz. onkologii klinicznej, szacuje się, że obecna liczba chorych w przypadku 1. linii leczenia NDRP płaskonabłonkowego lub nieokreślonego z ekspresją PD-L1 poniżej 50% wynosi ok. 2,8 tys. (blisko 20% skorzysta z wnioskowanej terapii), a w przypadku niepłaskonabłonkowego – 3 tys. chorych (ok. 30% skorzysta z terapii wnioskowanej w wyniku refundacji).

### Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego dla terapii durwalumabem + tremelimumabem + chemioterapią opartą na platynie (D+T+CTH) nie zidentyfikowano badań bezpośrednio porównujących jej skuteczność z wybranymi komparatorami w populacji dorosłych pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) w stadium rozsiewu i z ekspresją PD-L1 <50%. Uwzględnione w przeglądzie badania pierwotne dotyczyły porównania wnioskowanej interwencji z samą chemioterapią (CTH; RCT POSEIDON) lub schematem durwalumab + tremelimumab (D+T; RCT CCTG BR34). Zgodnie z wynikami badania POSEIDON, terapia D+T+CTH w porównaniu z samą CTH w populacji z rozsiałym NDRP z ekspresją PD-L1<50%, wiąże się z istotnie dłuższą medianą przeżycia całkowitego – OS (13,3 mies. vs 12 mies.; wg Garon 2024) oraz niższym ryzykiem zgonu o blisko 18%, natomiast wynik ten był na granicy istotności statystycznej (HR=0,82; 95%CI: 0,68; 1,00; p=0,057; cut-off: 12.03.2021). W RCT CCTG BR34 osiągnięto istotnie statystycznie niższe ryzyko progresji choroby dla D+T+CTH w stosunku do grupy leczonej D+T (HR=0,69; 95%CI: 0,51; 0,94; p<0,05; cut-off: 1.12.2019). W przypadku OS nie osiągnięto wyników istotnych statystycznie, natomiast mediana OS była nieznacznie wyższa w grupie kontrolnej o ok. 0,2 miesiąca. Do analizy klinicznej włączono również 4 przeglądy systematyczne z metaanalizami sieciowymi (Liu 2023, Li 2023, Sheng 2021 oraz Wenfan 2023), które dotyczyły populacji ogólnej z NDRP, bez wyodrębnienia danych w podgrupie z ekspresją PD-L1 <50%. W większości z nich nie odnotowano istotnych różnic dla analizowanych porównań technologii wnioskowanej z P+CTH czy N+I+CTH, zarówno dla punktów końcowych związanych z przeżyciem pacjenta, jak i bezpieczeństwa interwencji.

Najnowsze wytyczne amerykańskiej NCCN 2024 zalecają stosowanie durwalumabu + tremelimumabu (D+T) wraz z chemioterapią opartą na platynie oraz paklitakselu związanym z albuminą lub pemetreksedzie lub gemcytabinie

jako „inną opcję zalecaną” w zakresie leczenia 1. linii pacjentów z zaawansowanym/przerzutowym NDRP z ekspresją PD-L1 <50%, w stanie sprawności 0-2. Inne wytyczne amerykańskie, tj. ASCO 2023, wskazują, że lekarze mogą oferować pacjentom terapię D+T wraz z chemioterapią opartą na pochodnych platyny zarówno w niepłaskonabłonkowym, jak i płaskonabłonkowym NDRP, z ekspresją PD-L1 <50%.

Wytyczne europejskie ESMO 2023 wskazują, że terapia D+T wraz z dubletem pochodnych platyny może być opcją leczenia niezależnie od histologii, w zaawansowanym NDRP z ECOG 0-1, niezależnie od statusu PD-L1 i bez przeciwwskazań do terapii inhibitorami immunologicznych punktów kontrolnych.

Wg opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej udział D+T+CTH będzie wynosił ok. 30%.

Chorzy na raka niepłaskonabłonkowego i w bardzo dobrym stanie sprawności oraz bez przerzutów w mózgu i wątrobie mogą stanowić grupę, która skorzysta najbardziej ze stosowania ocenianej technologii.

#### Problem ekonomiczny

Objęcie refundacją produktu leczniczego Imfinzi (durwalumab) w ramach terapii skojarzonej z produktem leczniczym Imjudo (tremelimumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)” spowoduje wzrost wydatków dla płatnika publicznego o kilkadziesiąt mln zł/rok.

Opublikowane zostały rekomendacje refundacyjne – francuska HAS 2023 i niemiecka G-Ba 2023. Wytyczne HAS 2023, wskazują na bardzo małą korzyść kliniczną omawianej terapii, natomiast wytyczne niemieckie G-Ba 2023 podkreślają brak dodatkowych korzyści w stosunku do analizowanych komparatorów.

#### Główne argumenty decyzji

- Analizowane leczenie dotyczy choroby onkologicznej, która stanowi istotny problem zdrowotny, a częstość jej występowania wzrasta.
- Skuteczność porównywalna z dotychczasowymi schematami leczenia.
- Pozytywna opinia towarzystw naukowych oraz Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej, dotycząca omawianej terapii.
- Aktualny koszt terapii stanowi duże obciążenie dla budżetu płatnik publicznego.

**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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.43.2024 „Imfinzi (durwalumab) + Imjudo (tremelimumab) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)«, data ukończenia: 18.09.2024 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902 ) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)<sup>1)</sup> i art. 35a 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 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** AstraZeneca AB

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, Merck Sharp & Dohme B.V.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233) i , art. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.)<sup>1)</sup> i art. 35a 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 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, Merck Sharp & Dohme B.V.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 159/2024 z dnia 30 września 2024 roku  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne  
amiloridum + hydrochlorothiazidum w zakresie wskazań  
do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych  
niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. przewlekła  
choroba nerek u dzieci do 18 roku życia

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia.*

**Uzasadnienie**

*W swojej poprzedniej Opinii nr 157/2021 Rada uznała za zasadne finansowanie amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu innym niż ujęte w Charakterystyce produktu leczniczego, tj.: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia. Dokonano weryfikacji aktualności rekomendacji opisanych w raporcie OT.4221.3.2021 (PTNT 2019, KDIGO 2021, HFHS 2019, NICE 2021). Nie odnaleziono informacji w wytycznych na temat zastosowania amilorydu w połączeniu z hydrochlorotiazylem we wnioskowanym wskazaniu. W ramach odnalezionych wytycznych klinicznych Polskiego Towarzystwa Nefrologii Dziecięcej z 2022 roku wymienia się hydrochlorotiazyl jako opcję leczenia zespołu nerczycowego u dzieci. Amiloryd w połączeniu z furosemidem również stanowi opcję leczenia w zespole nerczycowym. PTNFD wskazuje również na zastosowanie diuretyków, do których należą wnioskowane produkty lecznicze, w terapii nadciśnienia tętniczego (związanego z PChN). W wytycznych PTNT w ramach schematów leczenia dzieci i młodzieży z NT w przewlekłej chorobie nerek wskazuje się skuteczność diuretyków w przypadku retencji płynów (GFR poniżej 40 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>).*

*Podsumowując, nie odnaleziono żadnych badań spełniających kryteria włączenia do przeglądu, na temat stosowania amilorydu w kombinacji z hydrochlorotiazylem wśród pacjentów pediatrycznych z przewlekłą chorobą nerek, które zostałyby opublikowane po dacie wyszukiwania przeprowadzonego w opracowaniu OT.4221.3.2021. Z uwagi na brak zidentyfikowanych badań oceniających skuteczność amilorydu w kombinacji z hydrochlorotiazylem*



*w leczeniu przewlekłej choroby nerek u dzieci do 18 roku życia nie przedstawiono wyników dla tej kombinacji substancji w ocenianym wskazaniu.*

*Stąd z powodu braku nowych dowodów naukowych - Rada uznaje tym samym za zasadne podtrzymanie poprzednio wydanej Opinii.*

**Uwaga Rady**

*Diuretyki tiazydowe/tiazydopochodne wykazują skuteczność jedynie u pacjentów z GFR powyżej 30–40 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 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 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.45.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4221.3.2021) „Amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu pozarejestrowanym: przewlekła choroba nerek u dzieci do 18 roku życia”, data ukończenia: 26 września 2024 r.