



BP.401.56.2024.BW

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 6/2025
w dniu 10 lutego 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasiński otworzył posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Anna Czerniecka-Kubicka
2. Małgorzata Dziędziak
3. Paweł Grzesiewski
4. Elżbieta Lanc
5. Tomasz Pasiński
6. Jacek Rubik
7. Zbigniew Siudak
8. Anna Socha-Banasiak
9. Małgorzata Sznitowska

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Artur Bachtą

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 oceny leku Skyclarys (omaveloxolonum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ataksję Friedreicha (ICD- 10: G11.1)”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B. 71. „Leczenie terapią bezinterferonową chorych na przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C (ICD-10: B18.2)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian dla kladrybiny w ramach programu lekowego B.29. „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program rehabilitacji leczniczej seniorów – mieszkańców gminy Święciechowa w wieku od 60 roku życia na lata 2025-2027”.

6. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla produktów leczniczych zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynacyniowych.
7. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla produktów leczniczych zawierających substancję czynną ciclosporinum we wskazaniach: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy; małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.
8. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla produktów leczniczych zawierających substancję czynną cyclophosphamidum we wskazaniach: zespół hemofagocytowy; zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.
9. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla produktów leczniczych zawierających substancję czynną danazolom we wskazaniach: małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny.
10. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla produktów leczniczych zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniu: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek – profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów. Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. oceny leku Skyclarys (omaveloxolomum).

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Jacek Rubik, Tomasz Pasierski, Małgorzata Sznitowska i Małgorzata Dziedziak.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta oraz przedstawiciela pacjentów, którzy odpowiadali także na pytania Rady.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jacek Rubik, a doprecyzowali go: Tomasz Pasierski, Jacek Rubik i Małgorzata Dziedziak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” i 1 głosem „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ada. 3. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu dot. wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.71.

Artur Bachta po zadeklarowaniu braku konfliktu interesów dołączył na posiedzenie.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Sznitowska.

Treść uchwały doprecyzowali: Tomasz Pasierski i Małgorzata Sznitowska.

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

Ad 4. Analityk Agencji omówił raport dotyczący substancji czynnej kladrybiny.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta oraz przedstawiciela pacjentów, którzy odpowiadali także na pytania Rady.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc, a doprecyzowali ją: Tomasz Pasierski, Elżbieta Lanc i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 5. Analityk Agencji streścił projekt programu polityki zdrowotnej dot. rehabilitacji leczniczej seniorów – mieszkańców gminy Święciechowa, a projekt opinii przedstawił Paweł Grzesiewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii dotyczący substancji czynnej sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta oraz przedstawiciela pacjentów, którzy odpowiadali także na pytania Rady.

W doprecyzowaniu opinii udział wzięli: Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Artur Bachta przedstawił projekt opinii dotyczący substancji czynnej ciclosporinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Anna Czerniecka-Kubicka przedstawiła projekt opinii dotyczący substancji czynnej cyclophosphamidum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Anna Socha-Banasiak przedstawiła projekt opinii dotyczący substancji czynnej danazolom we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii dotyczący substancji czynnej valganciclovirum we wskazaniach pozarejestracyjnych.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:04.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 19/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
w sprawie oceny leku Skyclarys (omaweloksolon) w ramach
programu lekowego „Leczenie chorych na ataksję Friedreicha (ICD-
10: G11.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Skyclarys (omaveloxolonum), kapsułki twarde 50 mg, 90 kaps., kod GTIN: 00373179500443, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ataksję Friedreicha (ICD-10: G11.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ataksja Friedreicha (FA) jest zaburzeniem wieloukładowym dziedzicznym w sposób autosomalnie recesywny, spowodowanym mutacją w genie FXN, która prowadzi do obniżenia poziomu frataksyny - białka mitochondrialnego, występującego w całym organizmie, które odgrywa istotną rolę w homeostazie żelaza i łagodzeniu skutków stresu oksydacyjnego. W FA niedobór frataksyny prowadzi do zmniejszenia produkcji ATP poprzez związki żelazowo-siarkowe, odkładanie żelaza w mitochondriach, zwiększoną produkcję reaktywnych form tlenu, co skutkuje większym obciążeniem stresem oksydacyjnym. FA powiązana jest z objawami z zakresu ośrodkowego jak i obwodowego układu nerwowego, układu mięśniowo-szkieletowego, mięśnia sercowego i wydzielania wewnętrznego trzustki. Najczęstszymi objawami są ataksja chodu i kończyn, dyzartria, zaburzenia równowagi, utrata odruchów z kończyn dolnych z głęboką utratą czucia, późniejsze stadia choroby wiążą się z występowaniem objawów ze strony układu piramidowego i manifestują się one zwłaszcza w obrębie kończyn dolnych w postaci osłabienia siły mięśniowej oraz nieprawidłowego napięcia mięśniowego. Większość pacjentów zmuszona jest do korzystania z wózka siedzącego, w zależności od źródła, przed trzecią dekadą życia lub po 15–20 latach trwania choroby. U około dwóch trzecich pacjentów występuje kliniczna lub subkliniczna neuropatia nerwu wzrokowego, a ostrość wzroku ma tendencję do powolnego zmniejszania się wraz z chorobą, aż u niewielkiej liczby osób dochodzi do ślepoty. Typowe nieprawidłowości układu mięśniowo-szkieletowego obejmują skoliozę, stopę wydrążoną (pes cavus) i stopę końsko-

szpotawą. W FA występują też objawy związane z kardiomiopatią przerostową. Ataksja Friedreicha jest chorobą postępującą. Dowody sugerują, że osoby z wcześniejszym początkiem choroby mają cięższy i dynamiczniej postępujący przebieg choroby. Najczęstszą przyczyną zgonu w FA są dysfunkcje kardiologiczne, takie jak zastoinowa niewydolność serca lub arytmia. Średni wiek zgonu wynosi 37 lat (zakres wiekowy 12–87; około 25 lat lub więcej od wystąpienia choroby nawet u najmłodszych pacjentów). Inne odnotowywane przyczyny zgonu to udar niedokrwienny, choroby serca i zapalenie płuc. Postępowanie w FA od lat koncentruje się na leczeniu objawowym, realizowanym przez multidyscyplinarne zespoły fizjoterapeutów, logopedów i lekarzy specjalizacji dziecięcych oraz dorosłych.

Alternatywne technologie medyczne

Wnioskodawca jako technologię alternatywną dla omaweloksolonu wskazał placebo dodane do leczenia standardowego (SoC) rozumianego jako naturalny przebieg choroby i stosowanie leków objawowych. Odnalezione wytyczne kliniczne dotyczą jedynie leczenia objawowego i podtrzymującego w FA.

W lutym 2023 roku omaweloksolon w postaci leku Skyclarys został zatwierdzony w Stanach Zjednoczonych przez FDA i jest wskazany w leczeniu ataksji Friedreicha u dorosłych i młodzieży w wieku 16 lat i starszych. Omaweloksolon jest aktywnym po podaniu doustnym, małocząsteczkowym, półsyntetycznym lekiem triterpenoidowym.

Dokładny mechanizm działania terapeutycznego omaweloksolonu u pacjentów z ataksją Friedreicha, nie jest znany. Wykazano, że omaweloksolon aktywuje szlak jądrowego czynnika transkrypcyjnego pochodzenia erytroidalnego typu 2 (ang. nuclear factor (erythroid-derived 2)-like 2, Nrf2) w warunkach *in vitro* oraz *in vivo* u zwierząt i ludzi. Szlak Nrf2 uczestniczy w odpowiedzi komórkowej na stres oksydacyjny. Istnieją istotne dowody wskazujące, że w komórkach pacjentów z ataksją Friedreicha występuje obniżone stężenie i aktywność czynnika Nrf2.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 1 pierwotne badanie z randomizacją MOXIE, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo omaweloksolonu (OMAW) z placebo (PLC) w populacji wnioskowanej. Do analizy włączono również publikację Lynch 2024 (badanie cross-over) dotyczącą porównania pośredniego skuteczności i bezpieczeństwa omaweloksolonu z przedłużonej obserwacji badania MOXIE (OLE) z badaniem dotyczącym naturalnego przebiegu choroby (FACOMS) oraz przegląd systematyczny Jain 2022.

Analiza skuteczności

Pierwszorzędowy punkt końcowy (zmiana w skali mFARS)

W 48. tygodniu badania w grupie pacjentów stosujących omaweloksolon więcej chorych doświadczyło poprawy wyniku mFARS (Zmodyfikowana Skala Oceny Ataksji Friedreicha oparta na badaniu neurologicznym) (zdef. jako zmianę od wartości wyjściowej: $\leq -1,9$ pkt) w porównaniu z placebo (47% vs 27%), wynik nie osiągnął jednak istotności statystycznej.

Natomiast u istotnie statystycznie mniejszego odsetka pacjentów w grupie omaweloksolonu odnotowano pogorszenie wyniku w skali mFARS, zdef. jako zmianę od wartości wyjściowej $\geq 1,9$ (21% vs 44%).

W badaniu MOXIe wykazano też istotną statystycznie różnicę na korzyść omaweloksolonu w porównaniu do placebo w zakresie zmiany wartości w skali mFARS dla obu subpopulacji: ARP (wszyscy randomizowani chorzy, niezależnie od obecności stopy wydrążonej); FAS (pełna populacja, chorzy bez stopy wydrążonej).

W badaniu MOXIe wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść omaweloksolonu w porównaniu do placebo w zakresie zmiany wyniku w skali mFARS w subpopulacjach pacjentów uwzględniających: kardiomiopatię w wywiadzie / chorych z dostępnymi danymi na temat dł. powtórzeń GAA1 / chorych z kardiomiopatią w wywiadzie oraz dostępnymi danymi na temat dł. powtórzeń GAA1 / długość powtórzeń GAA1 ≥ 675 / chorych poruszających się samodzielnie. Nie odnotowano IS różnic w zakresie zmiany wyniku w skali mFARS w przypadku subpopulacji uwzględniających: pacjentów dorosłych / subpopulację dzieci / długość powtórzeń GAA1 < 675 / chorych niezdolnych do samodzielnego poruszania się.

Pozostałe punkty końcowe

Zgodnie z oceną PGIC (ogólna ocena zmiany w opinii pacjenta, ang. Patient Global Impression of Change) w 48. tygodniu terapii w odniesieniu do stanu wyjściowego, w zakresie poprawy (zdef. jako zmianę od wartości wyjściowej < 4 pkt.), jak i pogorszenia (zdef. jako zmianę od wartości wyjściowej < 4 pkt.) wyniku nie odnotowano IS różnic pomiędzy grupami. W grupie chorych przyjmujących omaweloksolon nie odnotowano IS zmiany wyniku PGIC.

W 48. tygodniu terapii różnica wyniku w skali CGIC (ogólna ocena zmiany w opinii klinicysty, ang. Clinician Global Impression of Change) pomiędzy grupami wynosiła $-0,13$ pkt i nie była istotna statystycznie ($p=ns$).

W 48. tyg. obniżenie wyniku w teście 9-HPT (test 9 dołkowy, ang. 9-hole peg test, 9-HPT) odnotowano w obu badanych grupach. W grupie OMAW odnotowana różnica pomiędzy 48. tygodniem terapii, a początkiem badania była istotna statystycznie i wynosiła $-0,0014$ 1/s (SEM=0,0007), $p=0,04$, a w grupie PLA $-0,0001$ 1/s (SEM=0,0006), natomiast nie odnotowano IS różnicy pomiędzy obiema grupami ($p=ns$).

W 48. tyg. obniżenie wyniku w teście T25-FW (test chodu na dystansie 25 stóp, ang. *timed 25-foot walk test*) odnotowano w obu badanych grupach (wyniki IS). Oszacowana średnia różnica pomiędzy grupami w zakresie ocenianego parametru była nieistotna statystycznie ($p=ns$).

W 48. tyg. w grupie omaweloksolonu odnotowano nieistotny statystycznie wzrost pracy maksymalnej natomiast w grupie pacjentów przyjmujących placebo odnotowano IS wzrost ocenianego parametru. Różnica pomiędzy grupami OMAW vs PLC nie osiągnęła istotności statystycznej ($p=ns$).

Zmiana mediany (min, max) ilości upadków była mniejsza w grupie omaweloksolonu – wynik nie osiągnął IS.

Średnia zmiana wyniku testu FA-ADL (ocena wykonywania czynności życia codziennego, ang. *Friedreich's Ataxia - validated Activities of Daily Living*) (w 48. tyg. terapii vs stan początkowy) w grupie omaweloksolonu wynosiła -0,17 pkt ($SEM=0,450$), $p=ns$, a w grupie placebo 1,14 pkt ($SEM=0,42$), $p=0,009$. Różnica między badanymi grupami była IS ($p=0,04$) na korzyść OMAW (zdef. jako zmianę od wartości wyjściowej: $\leq -0,4$ pkt).

Poprawę wyniku testu FA-ADL odnotowywano częściej w grupie pacjentów stosujących omaweloksolon (poprawa wyniku FA-ADL (36% vs 20%) w porównaniu do grupy PLC (brak informacji o IS wyniku, brak wartości parametru p). Natomiast pogorszenie wyniku testu FA-ADL odnotowywano częściej w grupie pacjentów stosujących placebo vs OMAW (pogorszenie wyniku FA-ADL (47% vs 66%) (brak informacji o IS wyniku, brak wartości parametru p).

Poprawa wyników w zakresie parametrów mFARS, FA-ADL oraz PGIC występowała częściej w grupie omaweloksolonu w porównaniu z placebo (15% vs 2%) (brak informacji o IS wyniku, brak wartości parametru p). Brak pogorszenia wyników w zakresie parametrów mFARS, FA-ADL oraz PGIC występował u wyższego odsetka pacjentów w grupie przyjmującej omaweloksolon vs PLC (38% vs 17%) (brak informacji o IS wyniku, brak wartości parametru p).

Wyniki z przedłużonej fazy badania MOXIE – faza otwarta badania (OLE)

Dla populacji FAS różnica w wyniku mFARS pomiędzy grupami omaweloksolonu i placebo, obserwowana na końcu randomizowanego etapu badania została zachowana na końcu 72. tygodnia przedłużonej fazy badania MOXIE (OLE). Kryteria równoważności dla populacji APR nie zostały spełnione (wynik górnej granicy 90%CI >0).

Analiza skuteczności (publikacja Lynch 2024, badanie cross-over)

W ramach analizy PMC (*Propensity matched comparison*) wykazano, że w przebiegu badania MOXIE wynik wzrósł o 3,0 pkt. podczas gdy w badaniu FACOMS wynik mFARS wzrósł o 6,61 pkt (analiza w całej populacji).

Odnotowano IS różnice pomiędzy wynikami uzyskiwanymi przez pacjentów z badania OLE (cała populacja i chorzy leczeni uprzednio PLC) i FACOMS w zakresie zmiany wyniku mFARS względem baseline po 1. i 2. roku terapii. Nie odnotowano IS różnic w zakresie zmiany w skali mFARS między pacjentami z badania OLE (pacjenci leczeni od początku OMAW) i FACOMS.

Badanie wtórne

W ramach przeglądu systematycznego odnaleziono przegląd systematyczny Jain 2022, którego celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa interwencji terapeutycznych stosowanych w terapii ataksji Friedreicha (m.in. omaweloksolonu, deferipronu i reweratrolu). Do przeglądu włączono 32 publikacje, dotyczące 28 badań w tym: 22 RCTs, 5 badań o charakterze otwartym, 2 badania jednoramienne, 2 badania obserwacyjne i 1 badanie typu cross-over. Spośród włączonych badań 3 publikacje dotyczyły stosowania omaweloksolonu w porównaniu do placebo (badanie MOXIe). W ramach analizy skuteczności w przeglądzie Jain 2022 oceniano m.in. zmianę wyniku mFARS w badaniu MOXIe część 1 (ustalenie odpowiedniej dawki omaweloksolonu) oraz w badaniu MOXIe część 2 (porównanie stosowanie omaweloksolonu w dawce 150 mg vs placebo). Autorzy przeglądu Jain 2022 wskazują, że leczenie omaweloksolonem przełożyło się na IS większą poprawę w skali mFARS porównaniu z placebo w przebiegu 48-tygodniowego okresu obserwacji. W przypadku analizy bezpieczeństwa autorzy przeglądu Jain 2022 wśród najczęstszych zdarzeń niepożądanych, występujących podczas stosowania omaweloksolonu, deferipronu i reweratrolu wymieniają zmiany: parametrów z krwi, parametrów nerkowych i laboratoryjnych związanych z wątrobą tj. wzrost poziomu ALT i AST, zmniejszenie stężenia ferrytyny w surowicy, spadek poziomu krwinek białych. Wyniki dotyczące drugiej części badania MOXIe były spójne z wynikami przedstawionymi przez wnioskodawcę.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy zastosowanie leku Skyclarys jako terapii dodanej do terapii standardowej w miejsce terapii dotychczasowej jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowana wartość parametru ICUR wyniosła 5 574 645 PLN/QALY. Oszacowana wartość ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności.

Przy wartościach ICUR oszacowanych w analizie podstawowej, wyznaczona przez wnioskodawcę wartość progowej ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy wynosi ██████████ PLN za opakowanie leku. Oszacowana wartość progowa jest niższa od wnioskowanej ceny zbytu netto ██████████ o ██████████.

Prognozowana łączna liczba chorych stosujących produkt leczniczy Skyclarys w wariacie podstawowym scenariusza nowego wynosi [REDACTED]

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w przypadku objęcia refundacją produktu leczniczego Skyclarys w ramach proponowanego programu lekowego nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. 41,12 mln zł w I roku oraz o ok. 85,45 mln zł w II roku refundacji.

Probabilistyczna analiza wrażliwości wykazała, że oceniana technologia nie jest opłacalna kosztowo przy aktualnym progu opłacalności kosztowej. Prawdopodobieństwo opłacalności kosztowej dla leku Skyclarys jest minimalne. W żadnym z testowanych scenariuszy w ramach analizy wrażliwości nie odnotowano zmiany wnioskowania – Skyclarys pozostaje technologią droższą od komparatora, wartości parametrów ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności.

Dodatkowo biorąc pod uwagę niepewność oszacowań populacyjnych, liniowe wchodzenie pacjentów do modelu, niezaspokojoną potrzebę leczenia pacjentów we wnioskowanym wskazaniu oraz długi przewidywany czas terapii, rzeczywisty wpływ na budżet, może być wyższy niż oszacowany. Należy mieć na względzie, że wyniki przedstawione BIA dotyczą 2-letniego horyzontu czasowego, który może być niewystarczający dla uzyskania równowagi na rynku. Dostęp do nowego leczenia może również skutkować zwiększeniem liczby wykonywanych testów genetycznych, co może wpływać na wzrost populacji, co nie zostało ujęte w analizach.

Odnaleziono jedną rekomendację pozytywną HAS z 2024 r. i jedną opinię oceniającą występowanie dodatkowej korzyści klinicznej G-BA z 2024 r. Zidentyfikowano ponadto informację na stronie NICE, zgodnie z którą decyzja refundacyjna dla omaweloksolonu w leczeniu ataksji Friedreicha jest w toku, lek jest także w trakcie oceny prowadzonej przez NCPE, Zorginstituut Nederland oraz CDA-AMC. Wg pozytywnej opinii HAS 2024 Skyclarys nie zapewnia poprawy (ASMR V) w strategii terapeutycznej ataksji Friedreicha w porównaniu do dostępnych opcji leczenia, zwrócono też uwagę na ograniczenia dostępnych dowodów naukowych. G-BA 2024 wskazuje, że w ogólnej ocenie zidentyfikowano niemierzalną dodatkową korzyść dla omaweloksolonu, ale dane naukowe nie pozwalają na jej ilościowe określenie. Ponadto w opinii G-BA nie można wnioskować o istotności klinicznej uzyskanego efektu (zmiany wyniku w skali mFARS) w badaniu MOXIe.

Główne argumenty decyzji

- Brak danych naukowych na poprawę przeżycia pacjentów oraz odległe utrzymywanie się efektów leczenia;

- *Brak jednoznacznych danych na temat wpływu leku na powikłania kardiologiczne FA, które są głównym powodem przedwczesnej śmiertelności pacjentów;*
- *Brak dowodów naukowych na skuteczność w populacji pacjentów z ciężką postacią choroby;*
- *Duża niepewność co do szacunku liczebności populacji docelowej;*
- *Wyjątkowo wysokie koszty leczenia.*
- *Lek jest refundowany tylko w 3 krajach europejskich.*

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 analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.65.2024 „Wniosek o objęcie refundacją leku Skyclarys (omaweloksolon) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na ataksję Friedreicha (ICD-10: G11.1)«”; data ukończenia 31.01.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Biogen Poland 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 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. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Biogen Poland Sp. z o.o.

¹ podstawa prawna zakreślonych danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)



Opinia Rady Przejrzystości
nr 23/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian
w ramach programu lekowego B. 71. „Leczenie terapią
bezinterferonową chorych na przewlekłe wirusowe zapalenie
wątroby typu C (ICD-10: B18.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w ramach programu lekowego B. 71. „Leczenie terapią bezinterferonową chorych na przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C (ICD-10: B18.2)”.

Rada proponuje włączenie do programu populacji pediatrycznej jedynie w zawężonej grupie wiekowej 3-18 lat, zgodnie z zarejestrowanymi wskazaniami dla odpowiednich produktów leczniczych. Rada nie ma uwag do proponowanych zmian w zakresie badań diagnostycznych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Kluczowa zmiana w ww. programie lekowym dotyczy włączenia populacji pediatrycznej (0-18) z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu C do leczenia terapiami bezinterferonowymi dostępnymi w ramach programu lekowego B.71.

W ramach programu lekowego B.71 dostępne są następujące terapie: Harvoni (sofosbuwir + ledipaswir), Epclusa (sofosbuwir + welpataswir), Maviret (glekaprewir + pibrentaswir) i Vosevi (sofosbuwir + welpataswir + woksyleprewir), stosowane do tej pory w populacji osób dorosłych z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu C (pWZW C). Aktualnie wskazania rejestracyjne obejmują leczenie pWZW C u dorosłych oraz u dzieci i młodzieży w wieku 3 lat i starszych w przypadku produktów Harvoni, Epclusa i Maviret, które są dostępne dla mniejszych dzieci w formie granulatu a nie tabletek. Dla produktu leczniczego Vosevi (tylko dostępny w formie tabletek) wskazania do stosowania obejmują dzieci w wieku 12 lat i starsze.

Mając powyższe na uwadze, włączenie do programu lekowego B.71 populacji dzieci w wieku 0-3 lata wiązałoby się z zastosowaniem leków poza wskazaniami rejestracyjnymi (off-label).

Dowody naukowe

W odniesieniu do stosowania terapii bezinterferonowej u dzieci z pWZW odnaleziono jeden przegląd systematyczny z metaanalizą (Indolfi 2024), 6 badań prospektywnych bez grupy kontrolnej oraz jedno badanie retrospektywne. Przegląd systematyczny Indolfi 2024 objął 49 badań z udziałem 2848 dzieci z HCV. W każdej z 3 grup wiekowych (12-18 lat, 6-11 lat i 3-5 lat) SVR12 osiągnięto przynajmniej na poziomie 96%. Taką skuteczność potwierdzono także w pozostałych badaniach.

Nie zaobserwowano długoterminowego negatywnego wpływu leczenia na rozwój dzieci i u wszystkich leczonych SVR utrzymywało się podczas badania obserwacyjnego (ocena EMA raportu GS-US-334-1113).

Powyższe terapie rekomendowane są dla dzieci od 3 roku życia w wytycznych opisujących leczenie pWZW C (amerykańskie AASLD&IDSA 2023, Updated Clinical Guidelines 2024, europejskie ESPGHAN 2024 i polskie PTH: PGE HCV 2023).

Wpływ na budżet

Według dostępnych danych epidemiologicznych w Polsce żyje ok. 157 000 chorych na WZW C, z czego 3500 to dzieci i młodzież (ok. 170 chorych w wieku 0- 2 lata, 280 w wieku 3-6 lat, 610 w wieku 7-11 lat i 2400 w wieku 12-18 lat). Szacuje się, że populacja poniżej 18 r.ż. kwalifikująca się do proponowanego programu lekowego B.71 wyniesie od 59 do 71 pacjentów. Przy analizie wpływu na budżet dla wariantu podstawowego liczebność populacji docelowej oszacowano na 59 w I roku i 59 w II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym uwzględniającym charytatywny dostęp do leku (FOC) oraz umowy podziału ryzyka (RSS) łączne obciążenia budżetowe związane z leczeniem docelowej populacji chorych wyniosą po 153 tys. PLN w I i II roku analizy. Natomiast w scenariuszu nowym łączne obciążenia budżetowe związane z leczeniem docelowej populacji chorych ulegnie kilkukrotnemu wzrostowi (rocznie ██████████ z uwzględnieniem RSS; 4,467 mln PLN bez RSS).

Inne zmiany w programie

Zaproponowane zmiany do programu lekowego B.71 obejmują ponadto zmiany w obrębie badań diagnostycznych (zarówno dla populacji dorosłych pacjentów jak i pacjentów pediatrycznych) polegające na: 1/ dodaniu jakościowego oznaczenia HCV RNA przy kwalifikacji, 2/usunięcie oznaczenia albuminy, bilirubiny i protrombiny przy kwalifikacji oraz 3/ usunięcie oznaczenia bilirubiny wykonywanego podczas monitorowania leczenia.

Należy zaznaczyć, że oznaczenie jakościowe HCV RNA jest już dostępne w ramach aktualnego programu lekowego B.71 i dopuszcza się wykonanie takiego badania na etapie monitorowania leczenia po 12 tygodniach od zakończenia leczenia. Z tego względu, że to badanie diagnostyczne zostało już uwzględnione w wycenie terapii, jak również z uwagi na fakt, że nie usunięto wszystkich badań

diagnostycznych, proponowane zmiany w postępowaniu diagnostycznym nie będą miały konsekwencji finansowych.

Główne argumenty decyzji

- Włączenie populacji pediatrycznej w wieku 3-18 lat do programu lekowego B.71 jest uzasadnione sytuacją epidemiologiczną i badaniami klinicznymi skuteczności terapii u dzieci;
- Dopuszczone aktualnie do obrotu produkty lecznicze nie obejmują we wskazaniach dzieci poniżej 3 roku życia.

Uwagi Rady:

- Ze względu na brak dowodów naukowych na stosowanie leków Epclusa, Harvoni i Maviret u dzieci poniżej 3. roku życia oraz leku Vosevi u dzieci poniżej 12. roku życia, a także zgodnie z zapisami w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL), rozszerzenie populacji docelowej powinno być ograniczone do pacjentów w wieku 3-18 lat (Maviret, Harvoni, Epclusa) oraz 12-18 lat (Vosevi).
- Ze względu na wysokie koszty terapii włączenie do programu pacjentów pediatrycznych powinno nastąpić z zastosowaniem instrumentów dzielenia ryzyka.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.77.2024 „Zmiany w opisie programu lekowego B.71 Rozszerzenie populacji o pacjentów poniżej 18 r.ż.”; data ukończenia: 7 lutego 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (GILEAD SCIENCES POLAND Sp. z o.o., AbbVie sp. z o.o)

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.)¹) 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: GILEAD SCIENCES POLAND Sp. z o.o., AbbVie sp. z o.o



Opinia Rady Przejrzystości
nr 24/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian dla kladrybiny w ramach
programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie
rozsiarne (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian dla kladrybiny w ramach programu lekowego B.29. „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiarne (ICD-10: G35)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny dotyczy złagodzenia kryteriów kwalifikacji do leczenia kladrybiną w 1.linii RRMS. Obecnie kwalifikacja odbywa się w przypadku rozpoznania RRMS na podstawie wystąpienia minimum dwóch rzutów klinicznych niezależnie od zmian MRI w okresie 12 m-cy przed kwalifikacją. Propozycja MZ: w przypadku rozpoznania RRMS wystąpienie minimum 1 rzutu klinicznego albo co najmniej 1 nowe ognisko GD+ w okresie 12 m-cy przed kwalifikacją.

Refundowany produkt leczniczy kladrybina jest przeznaczony do stosowania u dorosłych w leczeniu rzutowej postaci stwardnienia rozsiarnego o dużej aktywności, potwierdzonej objawami klinicznymi lub wynikami diagnostyki obrazowej (MRI).

Zakres zlecenia dotyczy oceny zmian w zakresie populacji w PL B.29 oraz analizy wpływu na budżet płatnika.

W wyniku przeglądu nie odnaleziono żadnego badania dotyczącego pacjentów z RRMS z co najmniej 1 zmianą GD+, ale bez rzutów, u których stosowano kladrybinę.

W związku z brakiem dowodów naukowych przedstawiono wyniki najnowszego przeglądu systematycznego Cochrane`a z metaanalizą sieciową (NMA; Gonzalez-Lorenzo 2024). Wyniki przeglądu wskazują na wysoką skuteczność kladrybiny w odniesieniu do innych dostępnych immunomodulatorów i leków immunosupresyjnych stosowanych u pacjentów w 1.linii RRMS.

Podsumowanie wytycznych praktyki klinicznej przedstawiono na podstawie polskich wytycznych PTNeuro 2023 oraz 5 wytycznych zagranicznych

ECTRIMS/EAN 2018 (Europa), AAN 2018 (USA, podtrzymane w 2024), NICE 2019-2024 (UK), CNS 2022 (Chorwacja) oraz DGN 2023 (Niemcy).

W żadnym z odnalezionych dokumentów nie odniesiono się do kryteriów kwalifikacji leczenia kladrybiną z RRMS, tj. do wystąpienia co najmniej 1 nowego ogniska GD+ w okresie 12 m-cy przed kwalifikacją pacjenta do ww. terapii. Terapia modyfikująca przebieg choroby, w tym kladrybina, powinna być rozpoczynana u chorych z aktywną postacią RRMS niezwłocznie po dokonaniu rozpoznania (występowanie rzutów klinicznych choroby ≥ 1) lub aktywność radiologiczną stwierdzoną w badaniu MRI [często ≥ 2 zmiany GD+]).

Wytyczne PTNeuro 2023 wskazują, że w przypadku pacjentów RRMS o wysokiej aktywności powinno się stosować leczenie o dużej skuteczności, tj. m.in. kladrybiną w tabletkach.

W opiniach ekspertów są wskazania na niewielkie zmiany odsetka pacjentów leczonych innymi lekami w 1. linii RRMS. Szacują ok. 0,5-1 % spadek w zakresie kilku terapii. Eksperti podkreślają, że dotychczas kladrybiną w zawężonym wskazaniu było leczonych ok. 300-370 pacjentów, podczas gdy pacjenci leczeni innymi lekami z rozpoznaniem RRMS z min. 1 rzutem stanowili ok. 20-25 tysięcy osób. Podgrupą, która najbardziej skorzysta ze złagodzenia kryteriów leczenia kladrybiną są głównie kobiety planujące ciążę, osoby aktywne, pacjenci mający problemy ze stosowaniem się do zaleceń lekarskich lub z chorobami współistniejącymi.

Przejsie na leczenie kladrybiną oznacza dodatkowy koszt dla NFZ- od [REDAKTOWANE] do [REDAKTOWANE].

Główne argumenty decyzji

- Wysoka skuteczność kladrybiny w odniesieniu do innych dostępnych immunomodulatorów i leków immunosupresyjnych stosowanych u pacjentów z RRMS;*
- Opóźnienie przejścia do II linii leczenia w znacznej grupie pacjentów;*
- Długoterminowa skuteczność leczenia;*
- Objęcie leczeniem kobiet planujących ciążę, osób aktywnych, pacjentów mających problemy ze stosowaniem się do zaleceń lekarskich lub z chorobami współistniejącymi;*
- Akceptowalny wpływ na budżet płatnika.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.85.2024 „Zmiany w opisie programu lekowego B.29 ujednoczenie kryteriów kwalifikacji dla kładrybiny w I linii leczenia rzutowo remisyjnej postaci stwardnienia rozsianego (RRMS)”; data ukończenia: 5 lutego 2025 r.

1. Opinia przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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.)¹⁾ 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: Merck Sp. z o.o.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Biogen Idec, Teva Pharmaceuticals Polska, Merck Europe B.V., Bayer AG, Roche, Novartis Ireland, Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, zr pharma & GmbH, MagnaPharm Poland sp. z o.o., KRKA-POLSKA Sp. z o.o., Sanofi sp. z o.o., Gedeon Richter Plc., EGIS Pharmaceuticals PLC, Bausch Health Poland Sp. z o.o., Sandoz Polska Sp. z o.o., Adamed Pharma S.A., +pharma arzneimittel GmbH, Accord Healthcare Polska Sp. z o.o., Glenmark Pharmaceuticals Sp. z o.o., Zentiva Polska Sp. z o.o., STADA Arzneimittel AG).

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.)¹⁾ 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: Biogen Idec, Teva Pharmaceuticals Polska, Merck Europe B.V., Bayer AG, Roche, Novartis Ireland, Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, zr pharma & GmbH, MagnaPharm Poland sp. z o.o., KRKA-POLSKA Sp. z o.o., Sanofi sp. z o.o., Gedeon Richter Plc., EGIS Pharmaceuticals PLC, Bausch Health Poland Sp. z o.o., Sandoz Polska Sp. z o.o., Adamed Pharma S.A., +pharma arzneimittel GmbH, Accord Healthcare Polska Sp. z o.o., Glenmark Pharmaceuticals Sp. z o.o., Zentiva Polska Sp. z o.o., STADA Arzneimittel AG



Opinia Rady Przejrzystości
nr 25/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
o projekcie programu „Program rehabilitacji leczniczej seniorów –
mieszkańców gminy Święciechowa w wieku od 60 roku życia na lata
2025-2027”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program rehabilitacji leczniczej seniorów – mieszkańców gminy Święciechowa w wieku od 60 roku życia na lata 2025-2027”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu, pt. „Program rehabilitacji leczniczej seniorów – mieszkańców gminy Święciechowa w wieku od 60 roku życia na lata 2025-2027”, został zaplanowany do realizacji w latach 2025-2027.

Projekt PPZ skierowany jest do dorosłych mieszkańców gminy Święciechowa w wieku 60 lat i więcej.

Wnioskodawca zaznacza, że zgodnie z danymi z Urzędu Stanu Cywilnego na dzień 18.11.2024 r. liczba osób spełniających ww. kryteria wynosi 1 856. Informacje przedstawione w projekcie są zbliżone do danych zamieszczonych na stronie internetowej Głównego Urzędu Statystycznego. W celu oszacowania liczby osób, które mogą skorzystać z programu, przyjęto współczynnik chorobowości AOS z powodu chorób układu kostno-mięśniowego, nerwowego oraz urazów w powiecie leszczyńskim na poziomie 4211 przypadków na 100 000 mieszkańców. Na tej podstawie, populację docelową w gminie Święciechowa oszacowano na około 78 osób rocznie. Wnioskodawca zaznacza jednak, że ze względu na ograniczenia finansowe, gmina planuje objąć PPZ około 50 dorosłych mieszkańców rocznie, co stanowi około 66% szacowanej populacji docelowej. Zatem biorąc pod uwagę 3-letni okres realizacji PPZ, zostanie nim objęte łącznie 150 osób.

W zakresie działań interwencyjnych zaplanowano:

- wizyty fizjoterapeutyczne, mające na celu kwalifikację uczestnika do PPZ, uwzględniając zaplanowanie indywidualnego planu rehabilitacyjnego, oraz weryfikację skuteczności przeprowadzonych działań rehabilitacyjnych w ramach programu. Indywidualny plan rehabilitacyjny będzie tworzony*

- przez fizjoterapeutę. Zabiegi zostaną dobrane na podstawie indywidualnych potrzeb pacjenta. Plan rehabilitacyjny będzie obejmował łączną wartość punktową wynoszącą 550 punktów (+/- 3 punkty) na cały cykl rehabilitacyjny, trwający 10 dni;*
- cykl zabiegów fizjoterapeutycznych. Zabiegi obejmują: zabiegi realizowane z bezpośrednim zaangażowaniem fizjoterapeuty – 36,49 punktów, zabiegi kinezyterapeutyczne – 8,55 punktów, ćwiczenia ruchowe ogólnousprawniające – 3,21 punktów, zabiegi fizykalne – 5,27 punktów, zabiegi masażu – 18,25 punktów, zabiegi realizowane z wykorzystaniem wody – 10,24 punktów;*
 - działania edukacyjne, które obejmą jedno spotkanie trwające 45 minut, przeprowadzone w grupach maksymalnie 20-osobowych. Spotkania będą prowadzone przez lekarza, pielęgniarkę, fizjoterapeutę lub dietetyka. Zgodnie z planem, przed i po prelekcji przeprowadzone zostanie badanie poziomu wiedzy uczestników, przy zastosowaniu pre-testu oraz post-testu. Wzór testu został załączony do projektu PPZ. Tematyka spotkania obejmować będzie takie zagadnienia jak: rola diety oraz suplementacji diety, aktywność fizyczna, ergonomia pracy w kontekście profilaktyki wtórnej chorób układu ruchu i urazów, zapobieganie wypadkom i zranieniom, istotność zdrowego trybu życia oraz sposoby radzenia sobie ze stresem.*

Planuje się także przeprowadzenie akcji informacyjnej w zakresie PPZ.

Głównym założeniem (celem) programu jest „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę 14 mm u co najmniej 30% uczestników Programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie gminy w latach 2025-2027”.

W projekcie wskazano również 1 cel szczegółowy, odnoszący się do wzrostu wiedzy uczestników PPZ (lub utrzymania wysokiego poziomu wiedzy).

Realizatorzy programu zostaną wyłonieni w ramach trybu konkurencyjnego (konkursu).

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 189 000 zł (ok. 63 000 zł rocznie). Źródła finansowania: Gmina Święciechowa.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarobkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym.

Rehabilitacja poprzez wpływ na: docelowe funkcje i struktury organizmu, działania i uczestnictwo, czynniki środowiskowe i osobiste, przyczynia się do osiągnięcia i utrzymania optymalnego funkcjonowania danej osoby w interakcji z otoczeniem.

Osoby starsze, podobnie jak wszyscy dorośli, powinny podejmować regularną aktywność fizyczną (WHO 2020).

Eksperci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Warunki realizacji PPZ powinny być zgodne z wymogami zawartymi w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej

Nadto eksperci oraz rekomendacje potwierdzają zasadność prowadzenia działań edukacyjnych w procesie rehabilitacji.

Populacja docelowa projektu PPZ znajduje odzwierciedlenie w opiniach ekspertów i rekomendacjach, tak samo jak przewidziane w nim interwencje, w tym działania edukacyjne. Również zgodnie z opiniami ekspertów projekt PPZ przewiduje, że realizator PPZ (podmiot wykonujący działalność leczniczą) będzie musiał spełniać wymogi określone w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Zarówno cel główny, jak i cel szczegółowy, za pomocą przewidzianych w projekcie PPZ działań, wydają się możliwe do osiągnięcia.

Należy przy tym wspomnieć, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Niemniej na terenie gminy Święciechowa umowy z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej nie posiada żaden świadczeniodawca. Należy uznać, że ta okoliczność stanowi dodatkowe uzasadnienie dla wdrożenia projektowanego PPZ.

Należy również zaznaczyć, że AOTMiT opiniował już podobny projekt programu gminy Święciechowa, pn. „Program rehabilitacji seniorów – mieszkańców gminy Święciechowa na lata 2023-2027”. Otrzymał on opinię negatywną, niemniej w obecnie opiniowanym projekcie PPZ wnioskodawca uwzględnił uwagi Prezesa AOTMiT (opinia 46/2023 z 25 sierpnia 2023 r.).

Uwagi Rady:

- *Brak uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych celu głównego.*
- *W zakresie opisów etapów PPZ i działań podejmowanych w ramach etapów nie uwzględniono wszystkich zaplanowanych interwencji, tj. wizyty fizjoterapeutycznej i działań edukacyjnych.*

- *Projekt PPZ, w zakresie kryteriów wyłączenia z programu, przewiduje złożenie oświadczenia przez uczestnika PPZ o braku korzystania ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez gminę Świąciechowa, NFZ, ZUS, KRUS lub PFRON, niemniej w załącznikach dołączonych do projektu PPZ nie przewidziano treści takiego oświadczenia.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.108.2024 „Program rehabilitacji leczniczej seniorów – mieszkańców gminy Świąciechowa w wieku od 60 roku życia na lata 2025-2027” realizowany przez: Gminę Świąciechowa”; data ukończenia: luty 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 26/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
sirolimusum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego tj.: stwardnienie guzowate;
limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epiteloidalnych komórek
przynaczyniowych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach:

- *stwardnienie guzowate;*
- *limfangioleiomiomatoza;*
- *nowotwór z epiteloidalnych komórek przynaczyniowych.*

Uzasadnienie

Poprzednie opinie Rady Przejrzystości z roku 2019 i 2022, dotyczące stosowania sirolimusu we wnioskowanych wskazaniach, były pozytywne. Brak jest nowych dowodów naukowych, które mogłyby wpłynąć na zmianę wnioskowania. Lek wymieniany jest w międzynarodowych wytycznych. Uwzględniając powyższe Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimusum we wskazaniach: stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epiteloidalnych komórek przynaczyniowych. Terapia jest znaczeni tańsza od terapii ewerolimusem posiadającym rejestrację w tym wskazaniu i równie skuteczna.

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).

1. Opinia przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 27/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną ciclosporinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.: aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego; białaczka z dużych granularnych limfocytów T; wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego; zespół aktywacji makrofagów; zespół hemofagocytowy; małopłytkowość oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną ciclosporinum we wskazaniach:

- *aplazja lub hipoplazja szpiku kostnego;*
- *białaczka z dużych granularnych limfocytów T;*
- *wybiórcza aplazja układu czerwonokrwinkowego;*
- *zespół aktywacji makrofagów;*
- *zespół hemofagocytowy;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny – leczenie paliatywne;*
- *stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek.*

Uzasadnienie

Cyclosporyna jest lekiem immunosupresyjnym stosowanym powszechnie od wielu lat w wielu jednostkach chorobowych. Praktyka kliniczna oraz wytyczne towarzystw naukowych potwierdzają użyteczność kliniczną cyclosporyny w leczeniu skojarzonym we wnioskowanych wskazaniach.

Analiza kliniczna dostępnych dowodów naukowych posiada jednak istotne ograniczenia, ze względu na badania niskiej jakości, małą populację pacjentów biorących udział w badaniach, znaczące różnice populacji badanej w stosunku do populacji wnioskowanej, różne dawki oraz skojarzenie w terapii z różnymi innymi lekami.

Mimo powyższych ograniczeń Rada Przejrzystości pozytywnie opiniowała wnioski o objęcie refundacją cyclosporyny w przedmiotowych wskazaniach (Opinia Rady Przejrzystości nr 115/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 r. i nr 41/2022 z dnia 14 marca 2022 r.). Od czasu wydania ostatniej opinii Rady, nie pojawiły się nowe publikacje oceniające skuteczność cyclosporyny we wnioskowanych wskazaniach.

Uwzględniając dostępne dowody naukowe oraz wieloletnie doświadczenia i ugruntowaną pozycję w leczeniu, potwierdzoną wytycznymi i rekomendacjami towarzystw naukowych, Rada uważa, że cyclosporyna powinna być dostępna, jako jedna z alternatyw terapeutycznych, we wskazaniach pozarejestacyjnych wymienionych we wniosku.

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).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 28/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
cyclophosphamidum w zakresie wskazań do stosowania lub
dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. zespół hemofagocytowy;
zespół POEMS; małopłytkowość oporna na leczenie
kortykosteroidami; anemia hemolityczna oporna na leczenie
kortykosteroidami

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną cyclophosphamidum we wskazaniach:

- *zespół hemofagocytowy;*
- *zespół POEMS;*
- *małopłytkowość oporna na leczenie kortykosteroidami;*
- *anemia hemolityczna oporna na leczenie kortykosteroidami.*

Uzasadnienie

W dniu 14 marca 2022 roku została wydana pozytywna Opinia Rady Przejrzystości nr 42/2022 w sprawie zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną cyklofosfamid, w tym samym wskazaniu.

W wyniku wyszukiwania aktualnych wytycznych klinicznych dotyczących leczenia zespołu hemofagocytowego, zespołu POEMS, małopłytkowości oraz anemii hemolitycznej, odnaleziono kilka nowych opracowań.

Rozpatrzone dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzedniego raportu odnośnie możliwości stosowania cyklofosfamidu w ocenianych jednostkach chorobowych i jakości dowodów naukowych. Dotychczasowe opracowania wskazują, że cyklofosfamid jest stosowany w leczeniu zespołu hemofagocytowego (HLH), zespołu POEMS, małopłytkowości odpornej na leczenie kortykosteroidami i anemii hemolitycznej odpornej na leczenie kortykosteroidami.

W ramach wyszukiwania odnaleziono następujące wytyczne kliniczne NCCN 2024, PGSz 2022/2023, PTHiT 2023, NCCN 2025. W zaktualizowanych zaleceniach Polskiej Grupy Szpiczakowej – PGSz 2022/2023, dotyczących rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytozy oraz innych dyskrazji,

wymieniono cyklofosfamid wśród najczęściej stosowanych leków w POEMS. Zalecenia te są również zgodne z NCCN 2024. W wytycznych zawartych w NCCN 2025 oraz PTHiT 2023 wymieniono cyklofosfamid jako opcję terapeutyczną w przypadku odpornej na wcześniejsze leczenie anemii hemolitycznej.

Ponadto, w publikacji *Autore 2024* dotyczącej zespołu POEMS wskazuje się na zasadność stosowania cyklofosfamidu uzyskując wskaźniki przeżycia bez progresji i ogólnego przeżycia po 6 latach na poziomie 65%. Podobne wnioski uzyskano w publikacji *Khouri 2024* oraz *He 2024*, w których zalecono stosowanie ixazomibu w leczeniu zespołu POEMS. Przedstawiono wyniki badania w połączeniu z cyklofosfamidem i deksametazonem u nowo zdiagnozowanych pacjentów z POEMS. Triplet wykazał zadawalającą skuteczność i tolerancję stanowiąc opcję leczenia dla pacjentów z POEMS.

Odnalezione dowody naukowe nie zmieniają wnioskowania z poprzedniego raportu odnośnie do możliwości stosowania cyklofosfamidu w ocenianych jednostkach chorobowych i jakości dowodów naukowych, co uzasadnia utrzymanie pozytywnej opinii Rady w sprawie refundacji leku cyklofosfamid.

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).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 29/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną danazol w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie; zespół mielodysplastyczny

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną danazol w wskazaniach:

- *małopłytkowość autoimmunizacyjna oporna na leczenie;*
- *zespół mielodysplastyczny.*

Uzasadnienie

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności kontynuowania finansowania leków zawierających danazol w wskazaniach pozarejestacyjnych (małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie oraz zespołu mielodysplastycznym). Poprzednie, pozytywne opinie Rady Przejrzystości dotyczące stosowania danazolu w powyższych wskazaniach zostały wydane w latach 2019 (nr 108/2019) oraz 2022 (nr 44/2022). Dowody naukowe, które uzasadniają stosowanie danazolu w leczeniu małopłytkowości autoimmunizacyjnej odpornej na leczenie i zespołu mielodysplastycznym są nadal ograniczone. W wytycznych klinicznych dotyczących leczenia małopłytkowości autoimmunizacyjnej, ASH 2022 wymienia się danazol jako opcję terapeutyczną. Z kolei wytyczne NCNN z 2025 r. nie wskazują na zastosowanie leku w przypadku zespołu mielodysplastycznego. Wyniki przeglądów systematycznych, które opublikowano po 2022 r. wskazują na kliniczną użyteczność zastosowania danazolu w odpornej na leczenie małopłytkowości autoimmunizacyjnej oraz zespołu mielodysplastycznym (Shah 2023, Shah 2024). Odnaleziono również pracę oryginalną wskazującą na skuteczność danazolu w skojarzeniu iguratimodem w leczeniu małopłytkowości odpornej na leczenie (Zhux 2023).

Podsumowując, nie odnaleziono istotnych danych klinicznych, które uzasadniałyby zmianę pozytywnej poprzedniej opinii Rady Przejrzystości z 2022 r., dotyczącej stosowania danazolu w ocenianych wskazaniach pozarejestacyjnych.

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).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 30/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną valganciclovirum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną valganciclovirum we wskazaniu: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie.

Uzasadnienie

Poprzednie opinie Rady Przejrzystości z roku 2019 i 2022, dotyczące stosowania walgancyklowiru we wnioskowanych wskazaniach, były pozytywne. W aktualizowanym opracowaniu AOTMiT, brak jest nowych dowodów naukowych które mogłyby wpłynąć na zmianę wnioskowania. Lek wymieniany jest w międzynarodowych wytycznych. Uwzględniając powyższe Rada uznaje za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną walgancyklowir we wskazaniach: zakażenie wirusem cytomegalii u pacjentów poddawanych przeszczepom kończyny, rogówki, szpiku, tkanek lub komórek - profilaktyka po zakończeniu hospitalizacji związanej z transplantacją do 110 dni po przeszczepie.

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).