



BP.401.28.2025.BW

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 20/2025
w dniu 13 maja 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:01.

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

1. Artur Bachta
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Małgorzata Dziedziak
5. Elżbieta Lanc
6. Marcin Lipowski
7. Tomasz Pasierski
8. Anna Socha-Banasiak
9. Małgorzata Sznitowska

Członkowie Rady Przejrzystości nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Paweł Grzesiewski

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 Arexvy, szczepionka przeciw syncytialnemu wirusowi dróg oddechowych (RSV) we wskazaniu: czynne uodpornienie w celu zapobiegania chorobie dolnych dróg oddechowych wywoływanej przez syncytialny wirus oddechowy (RSV) u osób dorosłych w wieku 65 lat i starszych obarczonych dodatkowymi czynnikami ryzyka, takimi jak: przewlekła choroba płuc, przewlekła choroba serca, stan po przebyłym udarze, cukrzyca, przewlekła niewydolność nerek, przewlekła niewydolność wątroby.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku EpiPen Jr., EpiPen Senior (epinephrinum) we wskazaniu: leczenie nagłych przypadków ciężkich reakcji alergicznych (anafilaksji) na użądlenia lub ukąszenia owadów, pożywienie, leki lub inne alergeny, a także w anafilaksji idiopatycznej lub wywołanej wysiłkiem fizycznym.

4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w gminie Trzebownik w latach 2025-2029”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego i nadciśnienia tętniczego u dzieci z terenu Gminy Miejskiej Kraków”.
6. Przygotowanie opinii dla substancji czynnych spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum we wskazaniu: F64.0 Transpłciowość.
7. Przygotowanie opinii dla substancji czynnych telmisartanum + amlodipini besilas + hydrochlorothiazidum we wskazaniu: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.
8. Przygotowanie opinii dla substancji czynnych valsartanum + indapamidum we wskazaniu: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.
9. Zakończenie posiedzenia.

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

Na posiedzenie dołączył Paweł Grzesiewski,
który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował kluczowe dane z raportu dot. oceny leku Arexvy.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Sznitowska i Małgorzata Dziedziak.

Projekt stanowiska przedstawił Artur Bachta, a w doprecyzowaniu jego treści udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak i Andrzej Dąbrowski.

Rada zdecydowała o zasadności doprecyzowania brzmienia wskazania dla leku Arexvy, w związku z czym podjęła decyzję o zmodyfikowaniu brzmienia pkt 2. przyjętego porządku obrad.

Nowe brzmienie pkt 2. porządku obrad:

2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Arexvy, szczepionka przeciw syncytialnemu wirusowi dróg oddechowych (RSV) we wskazaniu: czynne uodpornienie w celu zapobiegania chorobie dolnych dróg oddechowych wywoływanej przez syncytialny wirus oddechowy (RSV) u osób dorosłych w wieku 60 lat i starszych.

Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) zaaprobowała zmianę ww. zapisu.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 2 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji streścił raport dot. oceny leku EpiPen Jr., EpiPenSenior (epinephrinum).

Rada przeprowadziła dyskusję, w której udział wzięli: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Sznitowska i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak, a w doprecyzowaniu jego treści uczestniczyli: Anna Socha – Banasiak, Małgorzata Sznitowska i Tomasz Pasierski,

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

Ad 4. Analitik streścił opracowanie dot. programu polityki zdrowotnej fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych, a projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

W doprecyzowaniu treści opinii wypowiedzieli się: Tomasz Pasierski, Małgorzata Sznitowska i Elżbieta Lanc.

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

Ad 5. Analitik przedstawił opracowanie dot. programu polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego i nadciśnienia tętniczego u dzieci.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski i Anna Socha – Banasiak.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski, a w jej doprecyzowaniu udział wzięli Marcin Lipowski i Tomasz Pasierski.

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

Ad 6. Analitik Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. substancji czynnych spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Czerniecka – Kubicka, a w doprecyzowaniu treści uchwały wypowiedzieli się: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dzięziak i Anna Czerniecka – Kubicka.

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

Ad 7. Analitik Agencji przedstawił kluczowe dane z raportu dotyczące substancji czynnych telmisartanum + amlodipini besilas + hydrochlorothiazidum, a projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

W dyskusji Rady głos zabrali Małgorzata Sznitowska i Tomasz Pasierski.

W doprecyzowaniu treści opinii uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Elżbieta Lanc i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 8. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze dane dotyczące substancji czynnych valsartanum + indapamidum, a projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Sznitowska.

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

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:12.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 59/2025 z dnia 13 maja 2025 roku
w sprawie oceny szczepionki Arexvy (szczepionka przeciw
syncytialnemu wirusowi dróg oddechowych [RSV]) we wskazaniu:
czynne uodpornienie w celu zapobiegania chorobie dolnych dróg
oddechowych wywoływanej przez syncytialny wirus oddechowy
(RSV) u osób dorosłych w wieku 60 lat i starszych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Arexvy, szczepionka przeciw syncytialnemu wirusowi dróg oddechowych (RSV) (rekombinowana, z adiuwantem), proszek i zawiesina do sporządzania zawiesiny do wstrzykiwań, 1 fiol., GTIN: 05909991513610, we wskazaniu: czynne uodpornienie w celu zapobiegania chorobie dolnych dróg oddechowych wywoływanej przez syncytialny wirus oddechowy (RSV) u osób dorosłych w wieku 60 lat i starszych, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50%, pod warunkiem obniżenia ceny do ceny produktu już refundowanej szczepionki Abrysvo.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Badania epidemiologiczne wskazują, że zakażenia wywołane przez syncytialny wirus oddechowy (RSV) stanowią narastające zagrożenie zdrowotne zarówno globalnie, jak i w Polsce. W skali globalnej RSV jest jedną z głównych przyczyn infekcji dolnych dróg oddechowych u osób dorosłych. Szacuje się, że każdego roku wirus RSV powoduje ponad 470 000 hospitalizacji oraz około 33 000 zgonów wśród dorosłych w krajach o wysokim dochodzie. W Polsce obserwuje się wyraźny wzrost zachorowań na RSV w ostatnich latach. Zgodnie z danymi Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego PZH (NIZP-PZH), w 2024 r. odnotowano 41 631 przypadków zakażeń RSV (zapadalność 110,8 na 100 tys.), podczas gdy rok wcześniej było to 12 054 przypadki (31,9/100 tys.). Szczególnie nasilona fala zachorowań miała miejsce na przełomie 2024/2025 – tylko od 1 stycznia do 15 marca 2025 r. zgłoszono już 69 406 zakażeń RSV (184,8/100 tys.). Konsekwencje kliniczne zakażeń RSV u osób w wieku podeszłym są poważne. Wirus RSV powoduje u seniorów ostre zakażenia dolnych dróg oddechowych (zapalenie oskrzeli, zaostrzenia POChP/astmy, zapalenie płuc), które często

wymagają interwencji medycznej, hospitalizacji, a w części przypadków prowadzą do zgonu. Śmiertelność przypadków hospitalizowanych z powodu RSV u osób starszych jest istotna – globalne szacunki wskazują, że około 14 000 zgonów rocznie w skali świata stanowi bezpośrednio zgony szpitalne przypisywane RSV u seniorów. W populacji polskiej, wobec starzenia się społeczeństwa, można spodziewać się dalszego wzrostu liczby hospitalizacji i zgonów związanych z RSV w nadchodzących latach. Osoby dorosłe w wieku 60+ z dodatkowymi obciążeniami zdrowotnymi stanowią grupę najwyższego ryzyka ciężkich zakażeń RSV. W warunkach polskich dotyczy to istotnej części populacji seniorów – szacunkowo co najmniej 15–30% osób 60+ ma co najmniej jeden poważny czynnik ryzyka (chorobę przewlekłą) predysponujący do ciężkiego przebiegu RSV.

Dowody naukowe

Badania kliniczne dowiodły skuteczności wnioskowanej technologii w zapobieganiu choroby dróg oddechowych związanej z infekcją RSV w pierwszym sezonie na poziomie >80%, w drugim sezonie na poziomie >55%. Brak jest badań porównujących bezpośrednio skuteczność szczepionki Arexvy względem szczepionki Abrysvo.

Wytyczne kliniczne

W polskich wytycznych klinicznych zgodnie wskazuje się, że szczepienie przeciwko RSV zalecane jest wszystkim pacjentom w wieku >60 lat, w szczególności z przewlekłymi chorobami towarzyszącymi lub innymi czynnikami ryzyka (PTMR 2024, PTMR 2023). Szczepienie przeciwko RSV dla pacjentów po 60. roku życia zalecane jest dla pacjentów z POCHP i astmą (Wytyczne Konsultantów Krajowych 2024). Ponadto, zgodnie z Komunikatem Głównego Inspektora Sanitarnego w sprawie Programu Szczepień Ochronnych (PSO) na rok 2025 szczepienie przeciwko RSV są zalecane osobom w 60. roku życia i starszym oraz osobom w wieku 50-59 lat ze zwiększonym ryzykiem zachorowania na chorobę wywołaną przez RSV. Dodatkowo szczepienia przeciw RSV są wymieniane w kalendarzu szczepień dorosłych NIZP PZH u osób w wieku 60-64 lat i starszych.

Problem ekonomiczny

Rada nie znajduje argumentów dla wyższej ceny produktu Arexvy niż produktu Abrysvo.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 2 rekomendacje refundacyjne: pozytywną francuską, w której zaleca się szczepienie pacjentów w wieku 75 lat i starszych oraz 65-74 lata z chorobami układu oddechowego i sercowego oraz negatywną australijską, w której uznano ICER za nieakceptowalnie wysoki i niepewny we wnioskowanych populacjach 60-74 i 75+ (ponadto nie uwzględniono populacji 60-74 lat

z dodatkowymi obciążeniami oraz rdzennych mieszkańców). Zgodnie z danymi wnioskodawcy obecnie Arexvy jest refundowane w 2 krajach UE/EFTA: Dania (pacjenci 60+ z POChP) i Grecja (pacjenci 75+ oraz 60-74 lata z chorobami współistniejącymi).

Główne argumenty decyzji

- *Refundacja szczepionki o zbliżony mechanizmie działania w tych samych wskazaniach.*
- *Duża skuteczność wnioskowanej technologii w zapobieganiu choroby dróg oddechowych związanej z infekcją RSV w docelowej grupie.*

Uwaga Rady

Rada jest zdania, że obydwie szczepionki powinny być refundowane jedynie u chorych z czynnikami ryzyka.

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.423.0.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją szczepionki Arexvy we wskazaniu: czynne uodpornienie w celu zapobiegania chorobie dolnych dróg oddechowych wywoływanej przez syncytialny wirus oddechowy (RSV) u osób dorosłych w wieku 60 lat i starszych”, data ukończenia: 30.04.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 60/2025 z dnia 13 maja 2025 roku

w sprawie oceny leków EpiPen Jr. (epinefryna) i EpiPen Senior (epinefryna) we wskazaniu: leczenie nagłych przypadków ciężkich reakcji alergicznych (anafilaksji) na użądlenia lub ukąszenia owadów, pożywienie, leki lub inne alergeny, a także w anafilaksji idiopatycznej lub wywołanej wysiłkiem fizycznym

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *EpiPen Jr. (epinefryna), roztwór do wstrzykiwań, 0,15 mg/dawkę, 1 wstrzykiwacz, GTIN 05909990613366;*
- *EpiPen Senior (epinefryna), roztwór do wstrzykiwań, 0,3 mg/dawkę, 1 wstrzykiwacz, GTIN 05909990613373,*

we wskazaniu: leczenie nagłych przypadków ciężkich reakcji alergicznych (anafilaksji) na użądlenia lub ukąszenia owadów, pożywienie, leki lub inne alergeny, a także w anafilaksji idiopatycznej lub wywołanej wysiłkiem fizycznym, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50%, pod warunkiem zaproponowania instrumentu dzielenia ryzyka.

Problem decyzyjny

Zgodnie z World Allergy Organization 2020, wskaźniki zapadalności u dorosłych na anafilaksję szacuje się na 50-112/100 tys./rok (0,3-5,1%), a u dzieci na 1-761/100 tys./rok. Wstrząs anafilaktyczny to ciężka, szybko rozwijająca się reakcja anafilaktyczna (anafilaksja), w której występuje obniżenie ciśnienia tętniczego zagrażające życiu. Najczęstszymi przyczynami anafilaksji u dzieci są pokarmy (70%), a w dalszej kolejności wymienia się jady owadów (22%) oraz leki (7%), natomiast u blisko 15-20% dzieci mimo szczegółowej diagnostyki nie udaje się ustalić przyczyny (anafilaksja idiopatyczna). W przypadku dorosłych najczęściej odnotowuje się reakcję na leki (34%), pokarmy (31%) i jady owadów (20%), a w ponad 30% przypadków anafilaksja jest idiopatyczna. Objawy kliniczne anafilaksji są takie same, niezależnie od mechanizmu. Są to m.in. nagłe wystąpienie trudności w oddychaniu (duszność, świszczący oddech, obrzęk krtani), spadek ciśnienia tętniczego prowadzący do zawrotów głowy lub utraty przytomności, wysypka skórna (pokrzywka, rumień), obrzęk naczynioruchowy

(np. warg, języka, powiek), bóle brzucha, nudności, wymioty oraz uczucie niepokoju. Objawy pojawiają się najczęściej w ciągu kilku do kilkunastu minut po narażeniu na czynnik wywołujący. Leczenie anafilaksji polega głównie na natychmiastowym podaniu domięśniowo adrenaliny.

EpiPen Junior i Senior nie były do tej pory przedmiotem oceny AOTMiT. Aktualnie na polskim rynku brakuje preparatów z adrenaliną w postaci autowstrzykiwacza.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono żadnego randomizowanego badania klinicznego umożliwiającego bezpośrednie porównanie wnioskowanej interwencji z analizowanym komparatorem.

Odnalezione badania wtórne wskazują, że mimo braku badań randomizowanych, autowstrzykiwacze z epinefryną (adrenaliną) są powszechnie zalecane jako leczenie pierwszego wyboru w przypadku anafilaksji ze względu na ich działanie ratujące życie.

Wytyczne kliniczne: PTGHiŻDz 2015, PTA 2022, PTP 2024, europejskie EEACI i ERC z 2021 roku, brytyjskie NICE 2021, RCUK 2021, BSACI 2023, irlandzkie IAEM 2022, niemieckie DGAKI 2021, japońskie JSPACI 2020, amerykańskie: AAP 2017, WMS 2022, AAAAI 2023, ASCIA z 2024 i 2025 wskazują, że domięśniowa iniekcja epinefryny jest standardem postępowania po rozpoznaniu anafilaksji. Epinefryna powinna być podana przez jakimkolwiek innym lekiem i nie może być zastąpiona przez inną substancję. Epinefryna pozostaje lekiem pierwszego rzutu we wszystkich populacjach, także w przypadku małych dzieci i kobiet w ciąży.

Problem ekonomiczny

Refundacja EpiPen Jr. i EpiPen Senior będzie wiązać się ze wzrostem wydatków dla płatnika publicznego o kilka mln. zł rocznie.

Główne argumenty decyzji

- Adrenalina podawana domięśniowo jest lekiem ratującym życie w przypadku wystąpienia anafilaksji.
- Brak innego preparatu z adrenaliną w postaci autowstrzykiwacza na polskim rynku.
- Z uwagi na wysoki koszt dla budżetu płatnika objęcia refundacją preparatu konieczne jest wskazanie instrumentu dzielenia ryzyka.

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.423.0.6.2025 „EpiPen Jr. / EpiPen Senior (epinefryna) we wskazaniu leczenia anafilaksji na użądlenia lub ukąszenia owadów, pożywienie, leki lub inne alergenów oraz anafilaksji idiopatycznej lub wywołanej wysiłkiem fizycznym”, data ukończenia: 29.04.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 80/2025 z dnia 13 maja 2025 roku
o projekcie programu „Program fizjoterapeutycznych wizyt
patronażowych w Gminie Trzebownik w latach 2025-2029”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebownik w latach 2025-2029”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu, pt. „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebownik w latach 2025-2029”, został zaplanowany do realizacji w latach 2025-2029 (kontynuacja programu w kolejnych latach będzie uzależniona od zabezpieczenia środków na ten cel w budżecie Gminy Trzebownik).

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez Gminę Trzebownik, zakładający przeprowadzenie dwukrotnej fizjoterapeutycznej wizyty patronażowej (badań przesiewowych w kierunku zaburzeń motorycznych) w populacji niemowląt między 10 a 14 tygodniem życia i między 20 a 24 tygodniem życia, a także działań edukacyjnych i specjalistycznego poradnictwa dla rodziców.

Populację docelową programu stanowić będą niemowlęta między 10 a 24 tygodniem życia oraz rodzice niemowląt zakwalifikowanych do programu. Zgodnie z treścią projektu zaplanowano, że interwencjami w ramach programu objętych zostanie w sumie 700 niemowląt oraz 1 005 rodziców.

W zakresie wielkości populacji docelowej wnioskodawca, powołując się na dane Głównego Urzędu Statystycznego (GUS), wskazał na liczbę żywych urodzeń w Gminie Trzebownik w latach 2020-2023, która wyniosła średnio 230 urodzeń w ciągu roku.

W zakresie planowanych interwencji przewidziano przeprowadzenie dwóch podprogramów: Podprogram I – Fizjoterapeutyczna diagnostyka niemowląt między 10 a 24 tygodniem życia – w ramach którego przeprowadzone mają zostać działania w zakresie wczesnego wykrywania zaburzeń rozwoju motorycznego (diagnostyka funkcjonalna z wykorzystaniem oceny rozwoju wg kamieni milowych, Monachijskiej Funkcjonalnej Diagnostyki Rozwojowej oraz

Kart Oceny Rozwoju Psychoruchowego) oraz poradnictwo specjalistyczne dla rodziców (dwie wizyty patronażowe w miejscu zamieszkania); Podprogram II – Edukacja rodziców na temat rozwoju motorycznego niemowlęcia oraz sposobów i technik pielęgnacji wspierających jego prawidłowy rozwój. Pierwszym etapem tego podprogramu będzie przeprowadzenie badania poziomu wiedzy rodziców oraz ocena ich umiejętności w zakresie technik i sposobów pielęgnacji niemowląt przeprowadzana przez fizjoterapeutę. Następnie przeprowadzone mają zostać działania o charakterze edukacyjno-informacyjnym. Na zakończenie działań w ramach podprogramu II zaplanowano przeprowadzenie ponownej oceny wiedzy i umiejętności rodziców na podstawie kwestionariusza i oceny fizjoterapeutycznej.

PPZ ma uwzględniać także działania o charakterze informacyjno-promocyjnym, które realizowane będą przez cały okres trwania programu, ukierunkowane na upowszechnienie informacji o programie, sposobach rekrutacji, a także celach i spodziewanych efektach programu.

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

Planowane koszty całkowite: 431 000 zł (średnio 107 750 zł rocznie).

Źródła finansowania: Gmina Trzebowno.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że prawidłowy rozwój psychomotoryczny niemowlęcia odnosi się do postępujących umiejętności psychoruchowych dziecka w pierwszym roku życia, obejmujących zarówno motorykę dużą (postawę i lokomocję) i małą (koordynacja oko-ręka, zręczność) jak i rozwój psychiczny (mowa, zachowanie i rozwój socjalny). Ocena jakości rozwoju psychomotorycznego stanowi zarówno podstawę wczesnego rozpoznawania zaburzeń wynikających ze strony ośrodkowego i obwodowego układu nerwowego, czy aparatu ruchu, jak i jest narzędziem do oceny efektów podejmowanego tu leczenia i rehabilitacji.

Pośród zaplanowanych przez wnioskodawcę narzędzi diagnostycznych, jedynie ocena rozwoju wg kamieni milowych znajduje odzwierciedlenie w odnalezionych rekomendacjach. Wytyczne Indian Academy of Pediatrics wskazują, że wszystkie dzieci do 2 r.ż. podczas wizyt immunizacyjnych należy rutynowo badać pod kątem osiągnięcia przez dziecko odpowiednich dla wieku kamieni milowych (IAP 2022). W wytycznych australijskich osiągnięcie kamieni milowych, m.in. w zakresie rozwoju motorycznego (motoryki małej i dużej) zaleca się u dzieci <5 r.ż., jednak tylko w odniesieniu do dzieci zagrożonych opóźnieniem rozwojowym (wcześnieactwo, niska masa urodzeniowa, powikłania okołoporodowe, słaby stan zdrowia matki w ciąży, narażenie na alkohol i narkotyki w okresie prenatalnym, zakażenia, cechy genetyczne, trauma, maltretowanie, narażenie na toksyny, zatrucie ołowiem, niski status społeczno-ekonomiczny) (RACGP 2024).

W wytycznych amerykańskich towarzystw naukowych w zakresie narzędzi diagnostycznych stosowanych w ocenie zaburzeń rozwoju (w tym rozwoju psychomotorycznego) w populacji niemowląt i małych dzieci wymienia się natomiast konkretne narzędzie, tj. ocenę kamieni milowych wg SWYC (ang. Survey of Well-being for Young Children), które wskazane jest dla dzieci między 1 a 65 m.ż. (AAP 2025, MHQP 2024). Objawem alarmowym jest brak osiągnięcia tego etapu rozwoju w danym wieku. Krajowa Izba Fizjoterapeutów w swoich wytycznych zaleca stosowanie skali oceny funkcjonalnej pacjentów w wieku przedszkolnym (SOF-PP). Jest to narzędzie oceny funkcjonalnej przeznaczone dla dzieci od pierwszego miesiąca do 7 r.ż. Ocena przy wykorzystaniu SOF-PP polega na cyklicznej obserwacji i ocenie punktowej wszystkich czterech obszarów rozwojowych podczas spontanicznej aktywności dziecka (tj. oceny: kontroli posturalnej, kontroli motorycznej, motoryki małej oraz poziomu rozwój funkcji psychicznych). Ocena polega na obserwacji i ocenie punktowej występowania lub braku określonych zachowań dziecka w jego spontanicznej aktywności. Poszczególne zadania zostały wylistowane na czterech specjalnie opracowanych kartach oceny.

Należy wskazać, że odnalezione rekomendacje towarzystw naukowych w zakresie badań przesiewowych w kierunku zaburzeń motorycznych u niemowląt, odnoszą się raczej do rutynowej, okresowej oceny rozwoju dziecka (np. w ramach wizyt immunizacyjnych, czy wizyt patronażowych). W polskich wytycznych Krajowej Izby Fizjoterapeutów podkreśla się, że ocena jakości rozwoju psychomotorycznego stanowi zarówno podstawę wczesnego rozpoznawania zaburzeń wynikających ze strony ośrodkowego i obwodowego układu nerwowego, czy aparatu ruchu, jak i jest narzędziem do oceny efektów podejmowanego tu leczenia i rehabilitacji (KIF 2023). Wytyczne amerykańskie American Academy of Pediatrics wskazują, że nadzór nad prawidłowym rozwojem dziecka (obejmujący kompleksową ocenę) powinien odbywać się podczas każdej wizyty kontrolnej, począwszy od wczesnego dzieciństwa do okresu dojrzewania. Badania przesiewowe w kierunku wad rozwojowych przy użyciu wystandaryzowanych narzędzi, powinny zostać przeprowadzone podczas wizyt profilaktycznych w 9, 18 i 30 m.ż. dziecka (AAP 2025). Zaś w wytycznych Massachusetts Health Quality Partners podkreślono, że okresowa ocena stanu zdrowia dziecka w 1 r.ż. powinna obejmować m.in. ocenę rozwoju motoryki małej i dużej (MHQP 2024). Również w wytycznych Indian Academy of Pediatrics wskazuje się, że wszystkie dzieci do 2 r.ż. podczas wizyt immunizacyjnych należy rutynowo badać pod kątem prawidłowego rozwoju (osiąganie przez dziecko odpowiednich dla wieku kamieni milowych).

W sytuacji wykrycia w ramach badań przesiewowych lub nadzoru nieprawidłowości w rozwoju motorycznym, u dziecka należy wykonać kompleksowe badania neurologiczne. W przypadku stwierdzenia zwiększonego

napięcia mięśniowego, należy rozważyć wykonanie badań obrazowych mózgu. Natomiast u dzieci z prawidłowym lub zmniejszonym napięciem mięśniowym należy wykonać badania laboratoryjne kinazy kreatynowej i hormonu tyreotropowego (AAP 2025).

Jednocześnie należy wskazać, że opinie o przedmiotowym projekcie PPZ wyrazili dwaj eksperci - prof. dr hab. Andrzej Myśliwiec, Prezes Polskiego Towarzystwa Fizjoterapii, oraz dr hab. n. o zdr. Prof. ŚUM Małgorzata Domagalska-Szopa, Członek Rady Ekspertów przy Krajowej Izbie Fizjoterapeutów. Opinie te są ze sobą sprzeczne w zakresie oceny projektu PPZ i poszczególnych jego elementów, w tym w zakresie najistotniejszego aspektu, tj. zasadności prowadzenia i finansowania przedmiotowego programu.

Interwencje przewidziane do realizacji w ramach programu częściowo znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych finansowanych ze środków NFZ. Wizyty fizjoterapeutyczne realizowane w warunkach domowych znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (w ramach fizjoterapii domowej). Ponadto, badania przesiewowe niemowląt m.in. w kierunku zaburzeń psychomotorycznych, realizowane są w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu POZ. Należy jednak wskazać, że ww. badania przesiewowe niemowląt w ramach świadczeń POZ, obejmujące przebieg rozwoju motorycznego realizowane są w warunkach ambulatoryjnych, podczas gdy w projekcie przewidziano realizację świadczeń w warunkach domowych. Ponadto wiek, w którym są realizowane badania w ramach POZ, nie pokrywa się z wiekiem populacji docelowej programu, którą stanowią niemowlęta między 10 i 14 oraz między 20 a 24 tygodniem życia. Natomiast zaplanowane w programie działania edukacyjne skierowane do rodziców nie są finansowane w ramach świadczeń gwarantowanych i stanowią ich uzupełnienie.

Należy także wskazać, że zgodnie z informacjami z raportu AOTMiT na terenie Trzebowniska funkcjonuje tylko jeden podmiot leczniczy, który posiada umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu POZ, AOS oraz rehabilitacji leczniczej. Warto jednak zauważyć, że wśród produktów kontraktowanych w ramach umowy na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji, podmiot ten nie posiada produktu fizjoterapia domowa.

Rada uważa, że program jest w swojej intencji wartościowy i po uwzględnieniu poniższych uwag może zasługiwać na ponowną ocenę.

Uwagi Rady:

- żaden z zaproponowanych celów PPZ nie został sformułowany w sposób prawidłowy;*
- mierniki efektywności zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy;*

- *populacja docelowa powinna także wprost uwzględniać opiekunów prawnych, którzy nie muszą być biologicznymi rodzicami dziecka;*
- *kryteria kwalifikacji do programu polityki zdrowotnej oraz wykluczenia z PPZ zawierają braki lub są niejasne, w tym nie wskazano sposobów weryfikacji kryteriów kwalifikacji, ani osób, które będą za tę weryfikację odpowiedzialne; nadto w projekcie PPZ opisano, że w ramach kwalifikacji do programu będą przyznawane punkty, w tym za liczbę punktów w skali Apgar, przy czym nie wskazano, w jaki sposób okoliczność ta będzie ustalana (oświadczenie, dokumentacja medyczna);*
- *w treści PPZ przywołane jest rozporządzenie „w sprawie organizacji profilaktycznej opieki zdrowotnej” (pełna, prawidłowa nazwa: rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 28 sierpnia 2009 r. w sprawie organizacji profilaktycznej opieki zdrowotnej nad dziećmi i młodzieżą), które zostało uchylone;*
- *w zakresie planowanych interwencji:*
 - *brak uzasadnienia w projekcie dla powtórnej wizyty fizjoterapeutycznej;*
 - *nie uściślono, czy wszystkie narzędzia diagnostyczne zostaną wykorzystane u wszystkich niemowląt, przy czym jedynie ocena rozwoju wg kamieni milowych znajduje odzwierciedlenie w odnalezionych rekomendacjach, zaś w opinii jednego z ekspertów zaproponowane przez wnioskodawcę narzędzia w ogóle nie znajdują odzwierciedlenia w rekomendacjach i dowodach naukowych;*
 - *w treści projektu nie odniesiono się do sposobu realizacji działań edukacyjno-informacyjnych (w tym, czy będą realizowane indywidualnie w czasie wizyt patronażowych w ramach podprogramu I, czy jako odrębna interwencja przeprowadzona np. w postaci grupowych wykładów/warsztatów);*
- *sposób zakończenia udziału w PPZ opisano w sposób pobieżny, w szczególności nie określono dalszego postępowania w przypadku stwierdzenia zaburzeń rozwoju motorycznego;*
- *przedstawiony schemat interwencji podejmowanych w ramach programu nie jest do końca jasny i pełny;*
- *w opinii jednego eksperta nie ma uzasadnienia dla wymagań stawianych wobec fizjoterapeuty realizującego program (w tym w zakresie opisanego w projekcie PPZ wymogu odbycia jednego szkolenia w wymiarze co najmniej 300 godzin poświęconego diagnostyce i terapii rozwoju niemowląt);*
- *nie przedstawiono wskaźników, które posłużą do monitorowania zgłaszalności do programu, jedynie dwa z zaproponowanych wskaźników odnoszą się do ewaluacji programu;*

- *w zakresie kosztów:*
 - *całkowitych – wątpliwości budzi sposób wyliczenia średnich kosztów rocznych;*
 - *jednostkowych – przedstawione zostały w sposób ogólny (nie wyodrębniono kosztów poszczególnych interwencji), nie przedstawiono kosztów monitorowania i ewaluacji programu.*
- *Konieczne jest zapewnienie uniknięcia podwójnego finansowania świadczeń.*

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.431.24.2025 „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebowniko w latach 2025-2029” realizowany przez: Gminę Trzebowniko, Warszawa, maj 2025 oraz Aneksu „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 81/2025 z dnia 13 maja 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
wczesnego wykrywania nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego
i nadciśnienia tętniczego u dzieci z terenu Gminy Miejskiej Kraków”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego i nadciśnienia tętniczego u dzieci z terenu Gminy Miejskiej Kraków”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest nadwaga i otyłość wśród dzieci i młodzieży. W ostatnich 20–30 latach w Polsce trzykrotnie wzrosła liczba dzieci z nadwagą i nadciśnieniem. Według danych IŻŻ, w województwie małopolskim nadwaga i otyłość dotyczą 18,3% uczniów, co plasuje województwo na czwartym miejscu w kraju.

W 2019 roku AOTMiT opiniowała już podobny projekt programu, który otrzymała od Miasta Kraków. Wówczas Prezes Agencji wydał opinię pozytywną warunkowo nr 1/2019 z dnia 2 stycznia 2019 r. Wnioskodawca przesłał do Agencji raport końcowy z realizacji poprzedniej edycji programu, którego wyniki wskazują na pozytywne efekty zdrowotne. Odsetek dzieci z nadwagą i otyłością uległ obniżeniu, stwierdzono poprawę takich parametrów, jak ciśnienie tętnicze oraz wartość BMI. Przykładowo, mediana BMI dzieci spadła z 29,92 kg/m² do 26,6 kg/m², a w grupie dzieci młodszych odsetek dzieci z otyłością obniżył się z 46% do 20%. Program został bardzo wysoko oceniony przez uczestników i ich rodziców pod względem merytorycznym i organizacyjnym.

W obecnie ocenianej, drugiej edycji programu wprowadzono częściowo zmiany i uaktualnienia względem wersji poprzedniej. Ponadto, uwzględniono większość uwag zawartych w opinii Prezesa Agencji z dnia 2 stycznia 2019 r.

Głównym założeniem projektu PPZ jest „zwiększenie o ok. 10% wykrywalności nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego i nadciśnienia tętniczego w populacji uczniów klas VII, uczęszczających do samorządowych szkół podstawowych, podlegających Gminie Miejskiej Kraków (GMK), w latach 2025-2028”. Populację docelową programu będą stanowić dzieci ww. szkół (ok. 6 954 dzieci, z czego ok. 1 391 zostanie objętych interwencją specjalistyczną) oraz rodzice lub

opiekunowie prawni tych dzieci w zakresie współuczestnictwa w działaniach edukacyjnych i konsultacjach (ok. 6 954 osób) - łącznie ok. 13 908 osób.

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie etapu badań przesiewowych (pomiar masy ciała i wzrostu, obliczenie BMI, pomiar ciśnienia tętniczego, wypełnienie ankiety dotyczącej stylu życia, diety i aktywności fizycznej), etapu interwencji specjalistycznej (konsultacje lekarskie, badania laboratoryjne, poradnictwo dietetyczne, konsultacje psychologiczne, konsultacje z fizjoterapeutą lub specjalistą aktywności fizycznej) oraz działań edukacyjnych skierowanych do dzieci, rodziców i nauczycieli. W programie wykonane zostaną badania laboratoryjne obejmujące: morfologię krwi, pełny profil lipidowy na czczo (cholesterol całkowity, LDL, HDL, trójglicerydy), jonogram (sód, potas, wapń całkowity, magnez), poziom glukozy na czczo, poziom insuliny, próby wątrobowe (ALT, AST, GGTP, bilirubina całkowita), kwas moczowy, hormony tarczycy (TSH, FT3, FT4) oraz parametry funkcji nerek (mocznik, kreatynina). Celem badań będzie wykrycie zaburzeń metabolicznych, cukrzycy, chorób nerek lub wątroby oraz ocena tarczycy. W razie konieczności nastąpi skierowanie do specjalistycznych poradni.

W postępowaniu z otyłością wśród dzieci i młodzieży rekomendacje zalecają wdrożenie interwencji multikomponentowych o umiarkowanej lub dużej intensywności, mających na celu redukcję masy ciała i wypracowanie odpowiednich nawyków (USPSTF 2024, MQIC 2022b, APA 2018, ES 2017, AAFP 2017).

Projekt programu zawiera interwencje, które częściowo powielają świadczenia dostępne w ramach świadczeń gwarantowanych. Kompleksowa ocena stanu zdrowia obejmująca m.in. ocenę rozwoju fizycznego, w tym pomiary wzrostu i masy ciała wraz z określeniem BMI znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych w POZ. Porada psychologiczna dla dzieci i młodzieży znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień; jest realizowana w ramach świadczeń psychiatrycznych ambulatoryjnych oraz świadczeń z zakresu opieki psychiatrycznej w ramach I poziomu referencyjnego. Większość zaplanowanych świadczeń z zakresu diagnostyki laboratoryjnej jest finansowana w POZ.

Projekt zawiera szczegółowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. W projekcie odniesiono się do wymagań dotyczących personelu, wyposażenia oraz warunków lokalowych, które muszą zostać spełnione w celu realizacji PPZ. Wskazano, że realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Koszt całkowity programu został oszacowany na 3 237 429 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Miejskiej Kraków.

Uwagi Rady:

- *Cel główny oraz cele szczegółowe nr 1 i 4 zostały sformułowane nieprawidłowo, ponieważ nie odnoszą się do efektu zdrowotnego.*
- *Nie uzasadniono przyjętych wartości docelowych dla celów szczegółowych.*
- *Mierniki nr 1, 2 i 5 nie spełniają funkcji mierników efektywności, natomiast mogą zostać wykorzystane podczas monitorowania.*
- *Nie określono łącznego czasu trwania interwencji specjalistycznej przewidzianej dla jednego uczestnika (co uniemożliwia porównanie z wytycznymi).*
- *Nie wskazano konkretnych wartości BMI, na podstawie których będzie rozpoznawana nadwaga/otyłość i kwalifikacja do II etapu programu.*
- *Pomiar efektywności działań edukacyjnych, poprzez przeprowadzenie pre- i post-testów wiedzy, powinien dotyczyć również populacji rodziców lub opiekunów prawnych.*
- *Pakiet badań laboratoryjnych nie służy celom projektu i powinien zostać wyeliminowany zwłaszcza, że jest dostępny w ramach świadczeń gwarantowanych.*

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.431.23.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania nadwagi/otyłości, zespołu metabolicznego i nadciśnienia tętniczego u dzieci z terenu Gminy Miejskiej Kraków” realizowany przez: Miasto Kraków, Warszawa, maj 2025 oraz raportu nr OT.423.2.2018 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży w ramach programów polityki zdrowotnej” z kwietnia 2019 r., a także materiału uzupełniającego do Raportu nr OT.434.7.2024 „Profilaktyka nadwagi oraz otyłości wśród dzieci i młodzieży” ze stycznia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 82/2025 z dnia 13 maja 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu
podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu
Leczniczego, tj. F64.0 Transpłciowość

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. F64.0 Transpłciowość.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Transseksualizm jest to pragnienie do życia i bycia akceptowanym jako przedstawiciel płci przeciwnej, czemu towarzyszy zazwyczaj uczucie niezadowolenia z powodu niewłaściwości własnych anatomicznych cech płciowych.

Terapię osób transpłciowych (określaną jako tranzycja) powinien prowadzić zespół specjalistów odpowiednio przygotowanych do tej roli: endokrynolog, chirurg (urolog/ginekolog), psychiatra, psycholog i seksuolog. Istotna jest właściwa kwalifikacja do leczenia zgodnie z przyjętymi kryteriami oraz zapewnienie pacjentowi właściwej opieki psychologicznej zarówno przed leczeniem, jak i w długotrwałym procesie tranzycji. Celem tego postępowania jest afirmacja płci odczuwanej, a nie zmiana tożsamości płciowej. Leczenie ma na celu zmniejszenie rozbieżności między silnie odczuwaną identyfikacją płciową, która pozostaje niezmienna, a cechami typowymi dla pożądanego płci, i w efekcie zmniejszenie cierpienia wynikającego z doświadczanej niezgodności. W leczeniu NP należy dążyć do kompleksowej opieki, z uwzględnieniem potrzeb indywidualnego pacjenta i z zachowaniem zasad bezpieczeństwa, zarówno w odniesieniu do osób transpłciowych, jak i różnorodnych płciowo (transgender and gender diverse). Podejmowanie interwencji przed osiągnięciem pełnoletności jest obecnie przedmiotem kontrowersji i ożywionej debaty. Decyzji

o interwencjach operacyjnych, które są nieodwracalne, w Polsce z reguły nie podejmuje się u osób <18. rż.

Zlecenie MZ dotyczy substancji refundowanych w kategorii aptecznej przyporządkowanych do następujących grup limitowych:

- spironolactonum (38.0 Antagoniści aldosteronu - spironolakton),
- goserelinum (129.0 Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące – analogi hormonu uwalniającego gonadotropinę),
- leuprorelinum (129.0 Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące – analogi hormonu uwalniającego gonadotropinę),
- triptorelinum (129.0 Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące – analogi hormonu uwalniającego gonadotropinę oraz 69.2 Leki stosowane w terapii hormonalnej – analogi hormonu uwalniającego gonadotropinę).

Obecnie ze środków publicznych w Polsce refundowanych jest kilkanaście produktów leczniczych, w postaci kilku prezentacji leku, różniących się dawką i zawartością opakowania, zawierających wyżej wymienione substancje czynne, przyporządkowane do wskazanych grup limitowych:

- 5 produktów leczniczych zawierających spironolakton: w postaci kapsułek/tabletek (Finospir; Spironol, Spironol 100, Spironolactone Medreg, Verospiron);
- 5 produktów leczniczych zawierających goserelinę: w postaci implantu w amp.-strz. (Reseligo, Xanderla, Xanderla LA) lub implantu podskórnego (Zoladex, Zoladex LA);
- 3 produkty lecznicze zawierające leuprorelinę: w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania roztworu do wstrzykiwań (Eligard), implantu (Leuprostin) lub implantu w amp.-strzyk. (Librexa);
- 2 produkty lecznicze zawierające triptorelinę: w postaci proszku i rozpuszczalnika do sporządzania zawiesiny o przedłużonym uwalnianiu do wstrzykiwań (Diphereline SR) lub roztworu do wstrzykiwań (Gonapeptyl Daily).

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 19 marca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 r., we wskazaniu zgodnie z ICD-10: F64.0 Transseksualizm, obecnie refundowane są leki zawierające substancje czynne: cyproteroni acetas, estradiolum (w ramach wykazu A1. Leki refundowane dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem).

Spironolakton, goserelina, triptorelina i leuprorelina nie były dotychczas oceniane przez AOTMiT we wnioskowanym wskazaniu. Podejmowany problem dotyczy

objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. F64.0 Transpłciowość.

Dowody naukowe

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi, estradiol stosowany jest w terapii hormonalnej u trans-kobiet, jednak jest niewystarczający do obniżenia stężenia testosteronu do poziomów charakterystycznych dla kobiet – wytyczne wskazują na potrzebę stosowania leczenia wspomagającego, w tym leków o działaniu antyandrogenowym (spironolakton, octan cyproteronu) oraz analogów gonadoliberyny (GnRH). Spironolakton stanowi alternatywę dla octanu cyproteronu i różni się od niego zakresem działań niepożądanych, ponadto z uwagi na ryzyko wystąpienia oponiaka w przypadku octanu cyproteronu, spironolakton zalecany jest przy długotrwałej terapii hormonalnej. Analogi gonadoliberyny (GnRH) są przez wytyczne wskazywane także jako leczenie stosowane celem zahamowania dojrzewania u nastolatków.

Do przeglądu włączono dwa randomizowane badania kontrolne - Angus 2024 / Angus 2024b oceniające wpływ stosowania spironolaktonu oraz octanu cyproteronu na rozwój piersi u osób transpłciowych rozpoczynających terapię feminizującą z użyciem estradiolu oraz Burinkul 2021 porównujące skuteczność feminizującej terapii hormonalnej tj. octanu cyproteronu w skojarzeniu z estradiolem względem spironolaktonu w skojarzeniu z estradiolem w populacji kobiet transseksualnych.

Do przeglądu włączono również pięć opracowań wtórnych, trzy dot. stosowania leków androgennych: przegląd systematyczny i metaanalizę Gosikier 2024 dot. szacowania zmian związanych ze stosowaniem hormonalnej terapii afirmującą płeć (w tym spironolaktonu jako terapii add-on) w zakresie parametrów laboratoryjnych obejmujących stężenie cholesterolu całkowitego, jego frakcji LDL oraz HDL a także trójglicerydów, przegląd systematyczny Angus 2021 dotyczący skuteczności feminizującej terapii hormonalnej oraz przegląd systematyczny Wilson 2020 dot. wpływu leków antyandrogennych na poziom prolaktyny, występowania hiperprolaktynemii oraz prolaktynomy u kobiet transpłciowych stosujących terapię estrogenową, a także 2 opracowania wtórne dot. stosowania analogów gonadoliberyny u młodzieży transpłciowej w celu blokowania dojrzewania płciowego – przegląd systematyczny i metaanalizę Miroshnychenko 2025 oraz przegląd systematyczny Rew 2021.

Badanie Angus 2024 / 2024b wykazało, że po 6 miesiącach feminizującej terapii hormonalnej z użyciem estradiolu w skojarzeniu z octanem cyproteronu (CPA) lub spironolaktonem nie stwierdzono IS różnic między grupami w zakresie rozwoju piersi, objawów depresyjnych, dysforii płciowej ani stężenia potasu. CPA częściej

prowadził do supresji testosteronu <2 nmol/L ($p = 0,008$) i wyższych stężeń prolaktyny ($p < 0,001$), natomiast spironolakton wiązał się z częstszym wzrostem poziomu kreatyniny i mocznika. W obu grupach zaobserwowano wydłużenie czasu repolaryzacji komór serca (QTc) ($p < 0,001$), bez różnic między interwencjami.

Badanie Burinkul 2021 potwierdziło wyższą skuteczność octanu cyproteronu względem spironolaktonu. Odsetek uczestników, którzy osiągnęli poziom testosteronu w zakresie żeńskim był znacznie wyższy podczas stosowania octanu cyproteronu (90%) niż podczas leczenia spironolaktonem (19%). W zakresie profilu bezpieczeństwa utrata libido była najczęstszym działaniem niepożądanym stwierdzonym w obu grupach. Innymi zaobserwowanymi działaniami niepożądanymi były: tkliwość piersi, mialgia i zwiększona częstotliwość oddawania moczu. Wszystkie te działania były dobrze tolerowane przez uczestników badania. Poważne działania niepożądane wynikające ze stosowania octanu cyproteronu zaobserwowano u dwóch osób spośród 52 włączonych do badania.

Zgodnie z wynikami przeglądu systematycznego i metaanalizy Gosikier 2024 dla podgrupy osób stosujących spironolakton jako terapia add-on, po 12 miesiącach terapii nie stwierdzono istotnych zmian w zakresie cholesterolu całkowitego ani triglicerydów w żadnej z badanych grup. W przypadku HDL-C, spironolakton wiązał się z istotnym wzrostem stężenia, natomiast w grupie CPA odnotowano jedynie nieistotny spadek. Dla LDL-C nie wykazano istotnych zmian w grupie CPA, a w grupie spironolaktonu nie raportowano odrębnych wyników.

W badaniu Angus 2021 octan cyproteronu, octan medroksyprogesteronu oraz leuprolelina są bardziej skuteczne w stosunku do spironolaktonu w hamowaniu całkowitego stężenia testosteronu w surowicy. W celu optymalizacji stosowania antyandrogenów u kobiet transpłciowych konieczne są jednak dalsze badania oceniające klinicznie istotne punkty końcowe.

Przegląd systematyczny Wilson 2020 wykazał, że stosowanie octanu cyproteronu w terapii feminizującej częściej wiązało się ze wzrostem poziomu prolaktyny (152–297%) niż terapia skojarzona ze spironolaktonem (wzrost do 45%, nieistotny statystycznie; $p=0,10$). Wyniki badań retrospektywnych były niespójne, a siła dowodów dotyczących występowania hiperprolaktynemii i prolaktynomy była niewystarczająca.

Uzyskane wyniki w ramach przeglądu i metaanalizy Miroshynchenko 2025 wskazują na możliwą poprawę funkcjonowania psychicznego oraz niewielkie zmniejszenie objawów depresyjnych i dysforii płciowej w przypadku stosowania analogów gonadoliberyny u młodzieży transpłciowej, jednak wszystkie te efekty oceniono jako oparte na dowodach o bardzo niskiej pewności. Z kolei stosowanie analogów GnRH mogło wiązać się z obniżeniem gęstości mineralnej kości

(zarówno w obrębie biodra, kręgosłupa lędźwiowego, jak i szyjki kości udowej). Ponadto, w 92% przypadków osoby poddane terapii GnRH kontynuowały leczenie hormonalne afirmujące płęć. Ogółem, pewność dostępnych dowodów uznano za bardzo niską, co uniemożliwia jednoznaczną ocenę skutków i bezpieczeństwa tych interwencji.

Z kolei przegląd Rew 2021 wskazuje, że stosowanie analogów GnRH u młodzieży z dysforią płciową może wiązać się z poprawą funkcjonowania psychicznego, spadkiem objawów depresji oraz niższym ryzykiem prób samobójczych w dorosłości. Odnotowano również brak istotnych zaburzeń funkcji nerek i wątroby oraz korzystne efekty pooperacyjne u osób AFAB. Jednocześnie wykazano możliwe działania niepożądane, takie jak spowolnienie wzrostu, zmiany w składzie ciała, spadek gęstości mineralnej kości i markerów jej obrotu, a w jednym przypadku – obniżenie IQ. Jakość dowodów oceniono jako niską do umiarkowanej.

Ograniczenia

Wszystkie włączone do przeglądu badania, które dotyczyły stosowania spironolaktonu w procesie tranzycji płciowej, oceniały jego zastosowanie wyłącznie w ramach terapii skojarzonej z estradiolem. Brak danych dotyczących monoterapii spironolaktonem uniemożliwia niezależną ocenę jego skuteczności i bezpieczeństwa w populacji osób transpłciowych. W związku z tym nie jest możliwe jednoznaczne wyodrębnienie efektów przypisywanych tej substancji czynnej od działań związanych z jednoczesnym podawaniem estrogenów, co należy uznać za istotne ograniczenie interpretacyjne. Dodatkowo, zidentyfikowano jedynie dwa badania RCT, z których jedno obejmowało populację australijską i tajską. Ze względu na ograniczony zakres, niewielką liczebność próby oraz różnice kulturowe i systemowe, wyniki te mają ograniczoną możliwość uogólnienia.

W odniesieniu do analogów gonadoliberyny (GnRH), większość przeglądów prezentowała wyniki zagregowane dla całej populacji objętej terapią hormonalną, bez wyszczególnienia konkretnego stosowanego preparatu. Ponadto, przeglądy systematyczne obejmujące te badania wskazują na istotne ograniczenia metodologiczne wynikające z niskiej jakości dostępnych dowodów, w tym małą liczebność próby oraz wysokie ryzyko błędów systematycznych, co znacząco ogranicza wiarygodność oraz możliwość uogólnienia wniosków dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa analogów gonadoliberyny stosowanych w celu blokowania dojrzewania u młodzieży transpłciowej.

Główne argumenty decyzji

- Terapie są zgodne z praktyką kliniczną;
- Poparcie w wytycznych klinicznych;
- Jednoznaczne pozytywne opinie odpowiednich konsultantów krajowych.

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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.1.2025 „Spironolactonum, goserelinum, leuprorelinum, triptorelinum we wskazaniu: innym niż określone w ChPL”, data ukończenia: 9 maja 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 83/2025 z dnia 13 maja 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
telmisartanum + amlodipini besilas + hydrochlorothiazidum
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu
podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu
Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne telmisartanum + amlodipini besilas + hydrochlorothiazidum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne:

- *Telmisartan + Amlodipini besilas + Hydrochlorothiazidum*

w zakresie wskazania do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze u dorosłych, w przypadku innych niż określono w CHPL.

Aktualnie zgodnie z obwieszczeniem MZ z dn. 19 marca 2025 w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 w Polsce finansowane są 4 produkty lecznicze zawierające ww. skojarzenie:

- *Tolutris, tabl. 40+5+12,5 mg, 28 tabl.,*
- *Tolutris tabl. 80+10+12,5 mg, 28 tabl.,*
- *Tolutris tabl. 80+10+25 mg, 28tabl.,*
- *Tolutris tabl. 80+5+12,5 mg, 28tabl.*

Produkty te zostały objęte refundacją od 1 kwietnia 2025 r. we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji. Zostały dołączone do grupy unikatowej 45.0, Antagoniści angiotensyny II – produkty jednoskładnikowe i złożone z poziomem odpłatności 30%. Wraz z objęciem

refundacją ww. produkty lecznicze zostały ujęte w wykazie D2 i tym samym są bezpłatne dla osób, które ukończyły 65 rok życia, podobnie jak inne produkty złożone z ww. grupy.

Wskazanie zarejestrowania tych produktów złożonych obejmuje terapię zastępczą w leczeniu samodzielnego ciśnienia tętniczego u dorosłych pacjentów, u których ciśnienie tętnicze kontrolowane w odpowiedni sposób podczas jednoczesnego stosowania produktów leczniczych złożonych zawierających dwie substancje czynne: telmisartan i hydrochlorotiazyd oraz produktów leczniczych zawierających 1 substancję czynną amlodypinę, podawanych w takich samych dawkach, jak w skojarzeniu, ale w postaci oddzielnych tabletek. Problem decyzyjny dotyczy oceny stosowania produktów złożonych zawierających w składzie telmisartan, amlodypinę i hydrochlorotiazyd w leczeniu nadciśnienia tętniczego bez uprzedniego stosowania składników złożenia w osobnych produktach, co wykracza poza zapisy rejestracyjne tych leków refundowanego w Polsce.

Tolutris / Telmisartan + Amlodipini besilas i Hydrochlorothiazidum, jest kolejnym refundowanym produktem zawierającym 3 substancje (antagonistę angiotensyny II/sartan) amlodypinę i hydrochlorotiazyd. Obecnie refundowane są również produkty Valtricom oraz Dipperam HCT będące połączeniem walsartanu z amlodypiną i hydrochlorotiazylem, które od 01.07.2023 na podstawie pozytywnej opinii Rady Przejrzystości - refundowane są również w nadciśnieniu tętniczym u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określonego w ChPL.

Według danych w NFZ z 2020 r. w Polsce żyło ok. 9,9 mln dorosłych osób z nadciśnieniem tętniczym, w tym około 5,5 mln kobiet oraz około 4,4 mln mężczyzn. Współczynnik chorobowości na 100tys. dorosłej ludności wynosił 317,5.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności włączono 2 przeglądy systematyczne z metaanalizą: Weisser 2019 oraz Parati 2021 oceniające skuteczność tabletek złożonych pod względem stosowania się do terapii nadciśnienia, wytrwania pacjenta w terapii oraz osiągnięcia docelowego ciśnienia krwi w porównaniu do schematu leczenia z zastosowaniem produktów w wolnych skojarzeniach.

Autorzy ww. przeglądów wykazali, że stosowane SCP wpływało na lepsze przestrzeganie zaleceń lekarskich oraz wytrwanie pacjenta w terapii, a w konsekwencji przekładało się na poprawę kontroli ciśnienia krwi w porównaniu do stosowania kilku tabletek jednocześnie.

Rekomendacje kliniczne:

Opisano 3 dokumenty wytycznych PTNT 2024, ESC2024, ESH 2023, w których odniesiono się do kwestii stosowania preparatów złożonych w 1. linii leczenia

nadciśnienia tętniczego. Polskie i europejskie rekomendacje zalecają rozpoczęcie leczenia od terapii skojarzonej w postaci pojedynczej tabletki, co zapewnia wyższą skuteczność rozpoczęcia leczenia względem monoterapii. Skojarzenie leków w małych dawkach jest bardziej skuteczne niż maksymalna dawka w monoterapii. Rozpoczęcie leczenia od terapii złożonej jednotabletkowej wiąże się z lepszym długoterminowym przestrzeganiem zaleceń lekarskich oraz redukcją ryzyka przerwania leczenia. W wytycznych klinicznych nie wskazuje się na konkretne produkty złożone, a jedynie na grupy substancji, które powinny być ze sobą połączone.

Eksperti kliniczni wskazali zgodnie, że inicjowanie leczenia nadciśnienia preparatami złożonymi jest zasadne. Przynosi wiele korzyści, dotyczących bezpieczeństwa terapii, szybkość osiągnięcia celu terapeutycznego, ograniczenia liczby powikłań sercowo-naczyniowych oraz adherence. Zgodnie z wytycznymi należy rozpoczynać terapię od leków dwuskładnikowych, a następnie w razie potrzeby intensyfikacji leczenia stosować preparaty 3-składnikowe. Jest to uproszczenie schematu leczenia, co wspiera stosowanie się pacjentów do zaleceń. Do możliwych problemów związanych ze stosowaniem preparatów złożonych w inicjowaniu terapii nadciśnienia eksperti wskazali trudności w dobraniu i modyfikowaniu dawki.

Eksperti wskazali trzy grupy pacjentów, w których preferowane jest również rozpoczynanie leczenia preparatami jednoskładnikowymi: pacjenci z nieznacznie podwyższonym ciśnieniem (skurczowe maksymalnie 150mm Hg), pacjenci z zespołem krwistości oraz osoby powyżej 80 roku życia.

Główne argumenty decyzji

- Już utrwalona praktyka lekarska.
- Rozpoczęcie leczenia od terapii skojarzonej w postaci pojedynczej tabletki zapewnia wyższą skuteczność względem monoterapii.
- Lepsze, długoterminowe przestrzeganie zaleceń lekarskich. Ograniczenie liczby powikłań sercowo-naczyniowych.
- Redukcja ryzyka przerwania leczenia.
- Terapia za pomocą preparatu potrójnie złożonego jest z perspektywy NFZ najtańsza.

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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.6.2025 „Telmisartanum + Amlodipini besilas + Hydrochlorothiazidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL”, Data ukończenia: 8 maja 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 84/2025 z dnia 13 maja 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne valsartanum + indapamidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne valsartanum + indapamidum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Aktualnie w Polsce finansowany jest 1 produkt leczniczy zawierający skojarzenie walsartanu z indapamidem, tj. Vabinxo, tabl. o zmodyfikowanym uwalnianiu, 160 + 1,5 mg, 30 szt. Produkt ten został objęty refundacją od dnia 1 kwietnia 2025 r. i został dołączony do grupy limitowej 45.0, Antagoniści angiotensyny II - produkty jednoskładnikowe i złożone z poziomem odpłatności 30%. Wraz z objęciem refundacją produkt leczniczy został ujęty w wykazie D2 i tym samym jest dostępny bezpłatnie dla osób, które ukończyły 65. rok życia. Wskazanie zarejestrowane tego leku obejmuje leczenie nadciśnienia tętniczego samoistnego, jako leczenie substytucyjne u dorosłych pacjentów odpowiednio kontrolowanych za pomocą walsartanu (lek blokujący receptor dla angiotensyny) i indapamidu (diuretyk tiazydowy) podawanych jednocześnie w takiej samej dawce jak w skojarzeniu, ale w postaci oddzielnych tabletek.

Niniejsza opinia dotyczy stosowania w nadciśnieniu tętniczym produktu złożonego, tzw. SPC (fixed dose Single Pill Combination) - tabletki zawierające w składzie walsartan i indapamid, bez uprzedniego stosowania składników złożenia w osobnych produktach. Takie wskazanie wykracza poza zapis rejestracyjny tego leku refundowanego w Polsce.

Na podstawie pozytywnej opinii Rady Przejrzystości (nr 92/2023 z dnia 8 maja 2023 roku) pierwszy 2-składnikowy produkt złożony SPC, oparty na połączeniu substancji z grupy sartanów z indapamidem (Ylpio- telmisartan z indapamidem)

został już objęty refundacją od 01.07.2023 r. w przypadkach innych niż określono w ChPL.

Dowody naukowe

Oczekuje się, że stosowanie leku złożonego SPC poprawi skuteczność i/lub bezpieczeństwo stosowania w stosunku do monoterapii. Zdaniem EMA uproszczenie dawkowania nie jest wystraszającym uzasadnieniem do wprowadzenia leku złożonego.

Autorzy przeglądów Weisser 2019 i Parati 2020 wykazali, że stosowanie produktów SPC wpływało na lepsze przestrzeganie zaleceń lekarskich oraz wytrwanie pacjenta w terapii, a w konsekwencji przekładało się na poprawę kontroli ciśnienia krwi w porównaniu do stosowania kilku tabletek jednocześnie. Zdaniem autorów (Parati 2020) lekarze powinni przepisywać terapię SPC wcześniej lub jako terapię pierwszego rzutu. Jednocześnie wskazano, że potrzeba więcej dowodów, zwłaszcza z randomizowanych badań kontrolowanych i badań rzeczywistej praktyki.

Polskie i europejskie rekomendacje (PTNT 2024, ESC 2024 i ESH 2023) zalecają nie tylko stosowanie w leczeniu nadciśnienia terapii skojarzonej walsartan + indapamid, ale także wskazują na wysoką skuteczność terapii rozpoczynającej się od stosowania terapii skojarzonej w postaci pojedynczej tabletki SCP, bez wymagania etapu wstępnego - stosowania substancji aktywnych w oddzielnych preparatach. Jest to uzasadniane faktem, że rozpoczynanie leczenia od terapii złożonej jednotabletkowej wiąże się z lepszym długoterminowym przestrzeganiem zaleceń lekarskich oraz redukcją ryzyka przerwania leczenia i niższym ryzykiem incydentów sercowo-naczyniowych.

Pomimo, że nie ma jednak danych dotyczących wyników z badań prospektywnych, które wskazywałyby na wyższość wstępnej terapii skojarzonej (zarówno w postaci preparatów łączonych, jak i oddzielnych tabletek) nad wstępną monoterapią w izolowanym leczeniu nadciśnienia, w wytycznych ESC 2024 zdecydowano się wydać zalecenie klasy I dla wstępnej terapii skojarzonej u dorosłych z potwierdzonym nadciśnieniem, biorąc pod uwagę wszystkie dane odnośnie korzyści w badaniach obserwacyjnych, dane z badań z randomizacją dotyczących lepszej kontroli nadciśnienia i przestrzegania zaleceń, a także uwzględniając korzyści dla kombinacji jednotabletkowych SPC w badaniach z randomizacją.

Zgodnie z wytycznymi ESH (2023) oraz z opinią trzech ankietowanych ekspertów klinicznych leczenie łączonym preparatem jednotabletkowym (SPC) powinno być preferowane na każdym etapie leczenia, tj. podczas rozpoczynania terapii skojarzeniem dwóch leków i na każdym innym etapie leczenia. Jako możliwe problemy związane ze stosowaniem preparatów złożonych w inicjowaniu terapii nadciśnienia eksperci wskazali trudności w dobraniu i modyfikowaniu dawki.

Eksperci wskazali również trzy główne grupy pacjentów, u których preferowane jest rozpoczynanie leczenia preparatami jednoskładnikowymi: pacjenci z nieznacznie podwyższonym ciśnieniem (skurczowe maksymalnie 150 mm Hg), pacjenci z zespołem kruchości oraz osoby powyżej 80 roku życia.

Problem ekonomiczny

W latach 2018-2024 populacja pacjentów stosujących skojarzone leczenie walsartanem i indapamidem liczyła ~130-150 tys. Terapia za pomocą preparatu złożonego SPC z perspektywy NFZ jest najtańsza i w zależności od przyjętej liczebności populacji (10%, 30%, 50%), roczna szacowana kwota refundacji wynosi od ~4 do ~20 mln PLN. Oszczędności względem skojarzenia najtańszych preparatów jednoskładnikowych szacowane w populacji 18-64 lat są na poziomie od 0,64 mln PLN (10% populacji) do 3,19 mln PLN (50% populacji), a względem skojarzenia najdroższych preparatów jednoskładnikowych mogą wynosić: od 1,58 mln PLN (10% populacji) do 7,86 mln PLN (50% populacji);

Z perspektywy pacjenta terapia za pomocą preparatu SPC zawierającego walsartan i indapamid jest droższa niż leczenie za pomocą refundowanych preparatów jednoskładnikowych: względem skojarzenia najtańszych preparatów jednoskładnikowych – o 0,79 mln PLN (10% populacji) i 3,96 mln PLN (50% populacji), a względem skojarzenia najdroższych preparatów jednoskładnikowych – o 0,49 mln PLN (10% populacji) i 2,46 mln PLN (50% populacji).

Główne argumenty decyzji

- Bezpieczeństwo oraz skuteczność ocenianych substancji w terapii skojarzonej nadciśnienia tętniczego jest dobrze znana i nie ma doniesień o zmianie takiego profilu przy stosowaniu obu substancji w jednej tabletkce (SPC).*
- W polskich i zagranicznych wytycznych klinicznych oraz w opinii ekspertów klinicznych wskazuje się, że terapia produktem SPC daje zdecydowanie większe szanse na stosowanie się pacjenta do zaleceń dawkowania i może być wprowadzona bez wcześniejszego stosowania substancji leczniczych w oddzielnych produktach.*
- Refundacja wnioskowanej technologii poza wskazaniem nie skutkuje dodatkowymi nakładami z budżetu, a nawet jest tańsza.*
- W takim samym wskazaniu pozarejestrowanym podlega już refundacji inny podobny produkt leczniczy SPC.*

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 objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.5.2025 „Valsartanum + Indapamidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL”, data ukończenia: 8 maja 2025 r.