



BP.401.7.2025.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 21/2025
w dniu 19 maja 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Andrzej Dąbrowski
4. Paweł Grzesiewski
5. Roman Junik
6. Maciej Karaszewski
7. Marcin Kołakowski
8. Marcin Lipowski
9. Ewa Obuchowicz
10. Aleksandra Zasada

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Chirurgia robotowa klatki piersiowej (nowotworów płuc oraz innych nowotworów klatki piersiowej)” jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Kisqali (ribociclibum) w ramach programu lekowego B.9.FM. „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Raxone (idebenonum) we wskazaniu: dziedziczna neuropatia nerwów wzrokowych Lebera w populacji pacjentów pediatrycznych – kontynuacja leczenia, w którym pacjent odniósł korzyść.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Malczyce”.
6. Ocena zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej substancji czynnych bosutynib i nilotynib z programu lekowego B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10:C92.1)” na katalog leków refundowanych w chemioterapii oraz objęcia refundacją w nowym wskazaniu.

7. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów. Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej dot. chirurgii robotowej klatki piersiowej.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Andrzej Dąbrowski i Roman Junik.

W dyskusji Rady udział wzięli: Artur Bachta, Marcin Kołakowski, Paweł Grzesiewski, Roman Junik, Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Ewa Obuchowicz.

W doprecyzowaniu treści stanowiska uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała, Artur Bachta i Andrzej Dąbrowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze kwestie dot. leku Kisqali (ribociclibum).

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów i eksperta.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Marcin Lipowski, Ewa Obuchowicz, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała i Aleksandra Zasada.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Aleksandra Zasada, a następnie głos w dyskusji zabrali: Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała i Aleksandra Zasada.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji podsumował raport w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Raxone (idebenonum).

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Lipowski, po czym w dyskusji i doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Marcin Lipowski.

Roman Junik opuścił posiedzenie.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego z zakresu rehabilitacji leczniczej, a projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji uczestniczyli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Marcin Lipowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił dane z raportu dot. zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej substancji czynnych bosutynib i nilotynib.

Projekt opinii Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz, a w dyskusji udział wzięli: Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz, Maciej Karaszewski i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:25.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 61/2025 z dnia 19 maja 2025 roku

w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Chirurgia robotowa klatki piersiowej (nowotworów płuc oraz innych nowotworów klatki piersiowej)” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Chirurgia robotowa klatki piersiowej (nowotworów płuc oraz innych nowotworów klatki piersiowej)” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem spełnienia następujących kryteriów:

- koszt tych świadczeń ze strony płatnika nie może być znacząco wyższy niż koszt odpowiednich procedur wykonywanych laparoskopowo,*
- niezbędne jest przeprowadzenie pełnego procesu wyceny i jej cyklicznej weryfikacji,*
- określenia minimalnych warunków realizacji świadczenia (w tym kryteriów kwalifikacji oraz wymogów stawianych względem personelu i ośrodków wykonujących zabiegi), umożliwiających wykonywanie zabiegów jedynie w ściśle określonych przypadkach,*
- bieżąca ocena efektywności procedury poprzez utworzenie ogólnokrajowego rejestru klinicznego pozwalającego na monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa leczenia z wykorzystaniem systemu robotowego,*
- do świadczeń gwarantowanych chirurgii robotowej nie należy klasyfikować zabiegów międzybłoniaka opłucnej (C45.0) i wtórnych nowotworów złośliwych opłucnej (C78.2).*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Nowotwór złośliwy oskrzela i płuca jest jednym z najpowszechniejszych nowotworów złośliwych na świecie. Leczenie uzależnione jest od stopnia zaawansowania, rozpoznania histopatologicznego i rokowania oraz ogólnego stanu chorego. W przypadku wczesnego zaawansowania choroby możliwe jest leczenie radykalne i usunięcie całego guza. W ostatniej dekadzie, guzy coraz rzadziej usuwane są metodami klasycznymi, z dostępu przez torakotomię, a dominować zaczynają metody małoinwazyjne – VATS i chirurgia robotowa. Analiza obejmowała także nowotwór złośliwy grasicy, nowotwór złośliwy

śródpierśia, nowotwór złośliwy o innym bliżej nieokreślonym umiejscowieniu w obrębie układu oddechowego i narządów klatki piersiowej oraz nowotwór złośliwy przełyku i połączenia przełykowo-żołądkowego.

Dowody naukowe

Dostępnych jest niewiele badań randomizowanych na temat klinicznej efektywności chirurgii robotowej klatki piersiowej. Brak dowodów naukowych o wysokim stopniu wiarygodności na temat chirurgii robotowej w międzybłoniaku opłucnej i wtórnych nowotworach złośliwych opłucnej. Chirurgia robotowa jest bardziej czaso- i kosztochłonna od zabiegów laparoskopowych i operacji otwartych, lecz umożliwia pacjentowi krótszy czas powrotu do sprawności po zabiegu operacyjnym. Szczególnie brakuje długoterminowych wyników skuteczności chirurgii robotowej nowotworów klatki piersiowej. Dostępne badania sugerują, że kliniczne efekty lobektomii wykonywanych metodami chirurgii robotowej i laparoskopowej są podobne.

Problem ekonomiczny

Z badań międzynarodowych wynika, że chirurgia robotowa jest bardziej kosztochłonna od zabiegów laparoskopowych. Brakuje precyzyjnej, krajowej wyceny metod chirurgii robotowej nowotworów klatki piersiowej. Według dostępnej wiedzy, finansowanie metod chirurgii robotowej przez świadczeniodawcę, może wiązać się ze znacznym, dodatkowym obciążeniem budżetu płatnika. Jest to problematyczne, w sytuacji gdy wyniki terapii metodami chirurgii robotowej są zbliżone do wyników metod laparoskopowych.

Główne argumenty decyzji

- Chirurgia robotowa jest coraz szerzej stosowaną metodą zabiegową, a ogólne efekty kliniczne jej stosowania są podobne (nie gorsze) do metod laparoskopowych.*
- Nadal jest niewiele randomizowanych badań klinicznych oceniających efekty, szczególnie długoterminowe i istotne klinicznie punkty końcowe, chirurgii robotowej w zakresie nowotworów zlokalizowanych w klatce piersiowej.*
- Chirurgia robotowa jest bardziej czaso- i kosztochłonna od zabiegów laparoskopowych, lecz umożliwia pacjentowi krótszy czas powrotu do sprawności po zabiegu operacyjnym.*
- Brakuje precyzyjnej wyceny metod chirurgii robotowej nowotworów klatki piersiowej. Według oszacowań Agencji, finansowanie metod chirurgii robotowej przez świadczeniodawcę, może wiązać się ze znacznym, dodatkowym obciążeniem budżetu płatnika. Jest to problematyczne, w sytuacji gdy wyniki terapii metodami chirurgii robotowej są zbliżone do wyników metod laparoskopowych.*
- Trudno podejmować decyzję o bezwarunkowym zakwalifikowaniu świadczenia jako gwarantowanego, gdy nie znamy kosztów procedury.*

- *Potrzeba utworzenia ogólnokrajowego rejestru klinicznego pozwalającego na monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa leczenia z wykorzystaniem systemu robotowego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportów w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej art. 31c ust. 1 ustawy:

- WS.420.18.2024 „Chirurgia robotowa klatki piersiowej w wybranych wskazaniach: nowotwór złośliwy oskrzela i płuca (C34), wtórny nowotwór złośliwy płuc (C78.0), nowotwór złośliwy o innym i bliżej nieokreślonym umiejscowieniu w obrębie układu oddechowego i narządów klatki piersiowej (C39) – ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego”, data ukończenia: 14 maja 2025 r.
- WS.420.18.2024 „Chirurgia robotowa klatki piersiowej w wybranych wskazaniach: nowotwór złośliwy grasicy (C37), nowotwór złośliwy śródpiersia przedniego, tylnego i części nieokreślonej (C38.1, C38.2, C38.3), wtórny nowotwór złośliwy śródpiersia (C78.1), – ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego”, data ukończenia: 14 maja 2025 r.
- WS.420.18.2024 „Chirurgia robotowa klatki piersiowej w wybranych wskazaniach: nowotwór złośliwy przełyku (C15) i wpustu (połączenie przełykowo-żołądkowe) (C16.0) – ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego”, data ukończenia: 14 maja 2025 r.
- WS.420.18.2024 „Chirurgia robotowa klatki piersiowej w wybranych wskazaniach: międzybłoniak opłucnej (C45.0) i wtórny nowotwór złośliwy opłucnej (C78.2) – ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego”, data ukończenia: 14 maja 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 62/2025 z dnia 19 maja 2025 roku
w sprawie oceny leku Kisqali (ribociclibum) w ramach programu
lekowego B.9.FM. „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Kisqali (ribociclibum), tabl. powł., 200 mg, 42 tabl., GTIN: 07613421186548, w ramach programu lekowego B.9.FM. „Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem uzupełnienia instrumentu dzielenia ryzyka o mechanizm cappingu.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rybocyklib jest selektywnym inhibitorem kinaz zależnych od cyklin (ang. cyclin-dependent kinase, CDK) 4 i 6, powodując, że wartość ich 50% zahamowania (IC50) wynosi odpowiednio 0,01 (4,3 ng/ml) i 0,039 μM (16,9 ng/ml) w badaniach biochemicznych. Wymienione kinazy są aktywowane po związaniu z D-cyklinami i odgrywają kluczową rolę w szlakach sygnałowych prowadzących do progresji cyklu komórkowego i proliferacji komórek. Kompleks cyklina D-CDK4/6 21 reguluje postęp cyklu komórkowego poprzez fosforylację białka retinoblastomy (ang. retinoblastoma protein, pRb).

Produkt leczniczy Kisqali pierwsze na dopuszczenie do obrotu uzyskał 22 sierpnia 2017 r. (EMA).

Rak piersi stanowi najczęściej występujący nowotwór złośliwy u kobiet. Jest chorobą heterogenną, o różnych podtypach biologicznych, zależnych m.in. od ekspresji receptorów hormonalnych i HER2. Do głównych czynników ryzyka należą m.in. płeć, wiek oraz występowanie mutacji genetycznych (BRCA1/BRCA2).

W przypadku wczesnego raka piersi HR+, HER2-, powszechnie stosowaną terapią obniżającą ryzyko nawrotu choroby jest adjuwantowa hormonoterapia. U niektórych pacjentów, w ciągu pierwszych 2 lat adjuwantowego leczenia rozwija się pierwotna oporność na hormonoterapię – u 20-30% pacjentek z wczesnym rakiem piersi HR+, HER2- dochodzi do nawrotu choroby, często

z przerzutami odległymi, a 12-14% kobiet z ER+ wczesnym rakiem piersi umiera w ciągu pierwszych 10 lat od diagnozy.

Zgodnie z opinią eksperta, liczba nowych zachorowań na HR+/HER2- wczesnego raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu wynosi ok. 7 000 w ciągu roku w Polsce. Produkt leczniczy Kisqali (rybocyklib) był przedmiotem oceny w AOTMiT kilkukrotnie, lecz w odmiennych wskazaniach niż oceniane.

Dostępna technologię alternatywną dla rybocyklibu w ocenianym wskazaniu stanowi hormonoterapia z zastosowaniem letrozolu, anastrozolu, tamoksifenu, oraz od 01.04.2025 r. (objęcie finansowaniem ze środków publicznych) produkt leczniczy Verzenios (abemacyklib).

Dowody naukowe

Wnioskodawca w ramach oceny skuteczności uwzględnił 1 badanie RCT NATALEE. Przeżycie wolne od choroby inwazyjnej stanowiło pierwszorzędowy punkt końcowy w badaniu. We wszystkich analizowanych okresach obserwacji, wykazano istotną statystycznie różnicę w zakresie iDFS w ramieniu RBC + IA, w porównaniu z ramieniem IA (HR: 0,72–0,75). W wyniku przeprowadzonych analiz w podgrupach dla przeżycia wolnego od choroby inwazyjnej, nie stwierdzono istotnej statystycznie różnicy w wynikach pomiędzy ramionami leczenia. W trakcie trwania terapii w obu ramionach badania, jakość życia pacjentów utrzymywała się na podobnym poziomie. Oznacza to, że po dodaniu rybocyklibu do terapii hormonalnej, jakość życia pacjentów pozostaje na zbliżonym poziomie. Nie przeprowadzono analizy statystycznej dla oceny różnic występujących pomiędzy terapiami.

Mediana OS nie została osiągnięta w momencie odcięcia danych, tj. 29.04.2024 r. i 21.07.2023 r. (estymowane przeżycie 3-letnie w obu ramionach leczenia wyniosło ponad 95%). Wyniki HR związane z przeżyciem całkowitym wyniosły 0,83 (95%CI: 0,64; 1,07; $p=0,0766$) i 0,89 (95%CI: 0,66; 1,20; $p=0,2263$). W związku z tym nie potwierdzono istotnej statystycznie różnicy w OS pomiędzy ramieniem rybocyklibu w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy, a inhibitorem aromatazy.

Wyniki HR związane z przeżyciem wolnym od przerzutów odległych wyniosły 0,72 (95%CI: 0,60; 0,85; $p<0,0001$) i 0,75 (95%CI: 0,62; 0,90; $p=0,002$). W związku z tym wykazano istotną statystycznie różnicę w DDFS na korzyść terapii rybocyklibem w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy, w porównaniu do leczenia inhibitorem aromatazy. Estymowany 3-letni DDFS wyniósł 91,5% wśród leczonych RBC + IA oraz 88,9% wśród leczonych IA. Wynik HR związany z przeżyciem wolnym od nawrotu choroby wyniósł 0,73 (95%CI: 0,60; 0,89; $p=0,0004$). W związku z tym wykazano istotną statystycznie różnicę w DDFS na korzyść terapii rybocyklibem w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy,

w porównaniu do leczenia inhibitorem aromatazy. Estymowany 3-letni RFS wyniósł 92,1% wśród leczonych RBC + IA oraz 89,1% wśród leczonych IA.

Odsetek pacjentów, którzy zaprzestali leczenia z powodu działań niepożądanych wywołanych terapią RBC był wyższy niż w przypadku IA, zarówno w grupie interwencji, jak i w porównaniu do komparatora. Zgon zareportowano u mniej niż 1% pacjentów w każdej z badanych grup. W porównaniu z monoterapią IA, dodanie RBC do terapii IA wiązało się z istotnym statystycznie zmniejszeniem ryzyka wystąpienia bólu stawów ($RR=0,87$ (95% CI: 0,82; 0,93). Zaobserwowano natomiast istotne statystycznie zwiększenie ryzyka wystąpienia nudności, zmęczenia (w tym także ≥ 3 . stopnia), biegunki (w tym także ≥ 3 . stopnia), bólu głowy oraz zakrzepicy naczyń żylnych w przypadku terapii skojarzonej. Najczęściej raportowanymi zdarzeniami niepożądanymi w grupie leczonej RBC + IA były neutropenia, leukopenia, zwiększone stężenie ALT i AST, zmniejszona liczba neutrofili i zmniejszona liczba białych krwinek. Leczenie RBC + IA w porównaniu z terapią IA wiązało się z istotnie statystycznie większym ryzykiem wystąpienia neutropenii (w tym także ≥ 3 . stopnia), zdarzeń niepożądanych związanych z wątrobą (w tym także ≥ 3 . stopnia), wydłużeniem odstępu QT oraz śródmiąższową chorobą płuc/zapaleniem płuc.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono cztery publikacje dotyczące leczenia pacjentów z wczesnym rakiem piersi HR+/ HER2- z wysokim ryzykiem nawrotu: amerykańskie NCCN 2025, brytyjskie NICE 2018 (zaktualizowane w 2025 r.), niemieckie AGO 2025 oraz kanadyjskie AHS 2025.

Wytyczne NCCN 2025 wskazują na zasadność stosowania rybocyklibu w ramach hormonoterapii adjuwantowej u pacjentów z HR+, HER2- wczesnym rakiem piersi z wysokim ryzykiem nawrotu. W wytycznych zaleca się, aby wybranie odpowiedniej ścieżki terapeutycznej rozpocząć od określenia statusu menopauzalnego oraz wyników testu genetycznego (21-genowy test RT-PCR).

Zarówno wytyczne NCCN, jak i NICE, wskazały hormonoterapię inhibitorem aromatazy, tamoksyfenem i supresję czynności jajników jako możliwą opcję leczenia. Wytyczne NICE wskazują na terapię skojarzoną HTH z abemacyklibem – rekomendacje dotyczące rybocyklibu znajdują się jeszcze w opracowaniu (planowana data publikacji: czerwiec 2025).

Rybocyklib obok abemacyklibu jako składowa (razem z hormonoterapią) ogólnoustrojowej terapii adjuwantowej wczesnego raka piersi HR+/HER2-

o wysokim ryzyku nawrotu choroby zalecany jest przez niemieckie i kanadyjskie wytyczne AGO i AHS.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania RBC + IA vs ET wyniósł ok. 475 tys. PLN/QALY w wariancie bez RSS oraz ok. [REDACTED] PLN/QALY w wariancie z RSS. Z kolei oszacowana wartość ICER dla ww. porównania wyniosła ok. 376 tys. PLN/LY w wariancie bez RSS oraz ok. [REDACTED] PLN/LY w wariancie uwzględniającym RSS. Oszacowane wartości ICUR i ICER, w wariancie z RSS, znajdują się [REDACTED] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Ceny progowe dla założonego progu opłacalności, tj. 217 641 PLN/QALY, wyniosły [REDACTED] zł (w przypadku ICUR) oraz [REDACTED] zł (w przypadku ICER).

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że wprowadzenie wnioskowanej technologii spowoduje [REDACTED] wydatków płatnika publicznego (ok. [REDACTED] zł w pierwszym roku, ok. [REDACTED] zł w drugim roku oraz ok. [REDACTED] zł w trzecim roku), przy założeniu zastosowania instrumentu dzielenia ryzyka, który polega na [REDACTED]

[REDACTED] Z kolei w przypadku braku uwzględnienia RSS wzrost wydatków wyniesie ok. 190,2 mln zł w pierwszym roku, ok. 501,4 mln zł w drugim roku oraz ok. 774,1 mln zł w trzecim roku. Oszacowana w oparciu o prognozy udziałów rynkowych wnioskowanej technologii liczba pacjentów włączonych do leczenia z zastosowaniem leku Kisqali wyniesie kolejno [REDACTED] w pierwszym, drugim i trzecim roku.

Głównym ograniczeniem analizy wpływu na budżet wnioskodawcy jest niepewność związana z oszacowaną w ramach analizy liczebnością populacji docelowej, populacji pacjentów, którzy będą stosowali ocenianą technologię w scenariuszu nowym oraz kształtowania się udziałów w rynku analizowanych leków.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 1 rekomendację negatywną oraz informacje o trwających ocenach w Wielkiej Brytanii, Szkocji, Kanadzie oraz Niemczech. W ocenie NCPE (Irlandia) pełna analiza HTA nie jest zalecana, a rybocyklib nie powinien być rozważany do refundacji w cenie przedłożonej przez wnioskodawcę.

Główne argumenty decyzji:

- Wykazano korzyść z dodania rybocyklibu w porównaniu ze stosowaniem samych inhibitorów aromatazy, w zakresie przeżycia wolnego od choroby inwazyjnej, przeżycia wolnego od przerzutów odległych oraz przeżycia wolnego od nawrotu choroby;
- Brak wykazanej przewagi terapii w zakresie przeżycia całkowitego;

- *Lek zalecany w wytycznych postępowania praktyki klinicznej;*
- *Bardzo wysoki koszt dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: WS.423.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Kisqali (rybocyklib) w ramach programu lekowego B.9.FM. Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)”, data ukończenia: 7 maja 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Novartis 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 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), 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.) 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.).

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 63/2025 z dnia 19 maja 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Raxone
(idebenonum) we wskazaniu dot. dziedzicznej neuropatii nerwów
wzrokowych Lebera w populacji pacjentów pediatrycznych

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Raxone (idebenonum) we wskazaniu: dziedziczna neuropatia nerwów wzrokowych Lebera w populacji pacjentów pediatrycznych – kontynuacja leczenia, w którym pacjent odniósł korzyść.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dziedziczna neuropatia nerwów wzrokowych Lebera (ang. Leber's Hereditary Optic Neuropathy, LHON) jest rzadką chorobą wywołaną mutacjami w obrębie mitochondrialnego DNA. Obraz kliniczny LHON może być bardzo zróżnicowany ze względu na stopień heteroplazmii, czyli jednoczesnego występowania w jednej komórce cząsteczek zmutowanego DNA obok mDNA bez mutacji. Na zmienność objawów choroby mogą mieć też wpływ takie czynniki, jak: alkoholizm, nikotynizm, niedobór witamin z grupy B lub morfologicznie mała tarcza nerwu wzrokowego. Rozpoznanie LHON jest utrudnione ze względu na brak charakterystycznych objawów. Potwierdzenie rozpoznania wymaga wykonania badań genetycznych. Chorują zwykle chłopcy i młodzi mężczyźni pomiędzy 15. a 35. rokiem życia (80–90%). Nie odnaleziono wskaźników epidemiologicznych dotyczących pacjentów z LHON w Polsce. W opinii jednego z ankietowanych ekspertów klinicznych, liczba nowych przypadków LHON u pacjentów pediatrycznych w Polsce wynosi 8-11 w ciągu roku.

Doniesienia literaturowe wskazują na możliwe spontaniczne cofanie się objawów w pewnej grupie pacjentów (zależy od typu mutacji). Poprawa widzenia może nastąpić w ciągu 6 miesięcy do roku od wystąpienia objawów, choć zdarzają się przypadki poprawy po 10 latach. Spontaniczna poprawa następuje szybko i może prowadzić do całkowitego odzyskania zdolności widzenia. Nie odnotowano nawrotów LHON u chorych, u których doszło do spontanicznej poprawy widzenia. Obecnie nie ma zarejestrowanych leków stanowiących leczenie przyczynowe LHON. Standardowa opieka nad chorymi z LHON obejmuje: leczenie objawowe,

profilaktykę (unikanie alkoholu i wyrobów nikotynowych), poradnictwo genetyczne, rehabilitację wzrokową i leki anty-apoptotyczne.

Technologią podlegającą obecnej ocenie jest idebenon (produkt leczniczy Raxone) zarejestrowany przez EMA w 2015 r. we wskazaniu: leczenie zaburzeń widzenia u młodzieży i dorosłych z dziedziczną neuropatią nerwu wzrokowego Lebera. Według ChPL, idebenon może, zgodnie z biochemicznym mechanizmem działania, przywrócić czynność żywych, choć nieaktywnych komórek zwojowych siatkówki (ang. retinal ganglion cell, RGC) i tym samym pomóc w przywróceniu zdolności widzenia u pacjentów z LHON.

Produkt leczniczy Raxone w analizowanym wskazaniu był już kilkakrotnie przedmiotem oceny AOTMiT. W przypadku wszystkich dotychczasowych zleceń, zarówno Stanowiska Rady Przejrzystości, jak i Rekomendacje Prezesa Agencji były negatywne. Na szczególną uwagę zasługuje stanowisko Rady nr 105/2022 z dnia 21 listopada 2022 r., ponieważ odnosi się do wskazania, którego zapis jest w pełni zgodny z obecnie ocenianym. Wówczas w głównych argumentach negatywnej decyzji Rada wskazała, że wyniki dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa pochodzą w większości z badań o niskiej wiarygodności bez grupy kontrolnej; spośród włączonych badań tylko jedno ma charakter randomizowanej próby klinicznej (RHODOS), natomiast pozostałe badania interwencyjne zostały przeprowadzone bez grupy kontrolnej lub z zewnętrzną grupą kontrolną, którą stanowili pacjenci z naturalnym przebiegiem choroby lub były to retrospektywne badania obserwacyjne.

Dowody naukowe

W celu identyfikacji dowodów naukowych na temat ocenianej technologii Agencja dokonała aktualizacji poprzedniego przeglądu systematycznego wykonanego w ramach raportu OT.4211.31.2021.; odnaleziono publikacje:

- Yu-Wai-Man 2024: oceniano korzyści terapeutyczne idebenonu u pacjentów z LHON - kontrolowane naturalnym przebiegiem choroby (dopasowana zewnętrzna grupa kontrolna), otwarte badanie interwencyjne LEROS (aktualizacja danych zawartych w rap. OT.4211.31.2021 na podstawie publikacji pełnotekstowej);
- Borrelli 2023: oceniano związki pomiędzy danymi demograficznymi, cechami klinicznymi i strukturalnymi wyników optycznej koherentnej tomografii (OCT) z długoterminowymi wynikami wzrokowymi u pacjentów z LHON leczonych idebenonem – retrospektywne, interwencyjne badanie kohortowe; w badaniu uczestniczyło tylko 17 pacjentów z LHON, w tym trzech poniżej 15 r.ż.;
- Schworm 2023: badano strukturę neuroretinalną u 25. młodych pacjentów z LHON – retrospektywna analiza przekrojowa; autorzy wskazują, że ze względu na ograniczoną liczebność próby, badanie to nie pozwala na jednoznaczne określenie efektów leczniczych idebenonu;

oraz publikację stanowiącą opracowanie wtórne:

- *Newman 2025: dokonano metaanalizy wyników wizualnych u pacjentów z LHON z mutacją m.11778G>A MT-ND4, którzy nie byli leczeni (historia naturalna) lub otrzymywali idebenon lub lenadogen nolpharwówek; opracowanie charakteryzowało się bardzo niską jakością.*

Uwzględniając powyższe, przedstawiono niżej jedynie wyniki z publikacji Yu-Wai-Man 2024 (LEROS). Do badania włączono 199 pacjentów z LHON, z czego 198 otrzymało produkt Raxone i zostało włączonych do oceny bezpieczeństwa (populacja ITT: 196 pacj.). W przypadku postaci podostrej/dynamicznej LHON, obserwowany efekt leczenia utrzymywał się po 24. miesiącach (52,9% vs 36,0%, $p=0,03$) i był spowodowany różnicą w klinicznie istotnych wskaźnikach stabilizacji (CRS) między dwiema grupami po 12. miesiącach (64,5% vs 22,5%, $p<0,001$) i po 24. miesiącach (66,7% vs 46,2%, $p=0,10$). W przypadku klinicznie istotnych wskaźników wyzdrowienia (CRR) nie uzyskano istotnych statystycznie różnic. Wskaźniki klinicznie istotnego pogorszenia (CRW) były niższe w grupie leczonej w porównaniu z nieleczonymi po 12. (29,1% vs 58,5%, $p<0,001$) i po 24. miesiącach (25,8% vs 51,0%, $p=0,005$). W postaci przewlekłej częstotliwość klinicznie istotnej korzyści (CRB) od początku badania do 12. miesięcy była wyższa w grupie leczonej w porównaniu z nieleczoną (50,3% vs 38,6%, $p=0,009$). CRB utrzymywała się przez 24 miesiące (49,1% vs 37,6%, $p=0,02$) i była spowodowana wyższym odsetkiem oczu z klinicznie istotnym przywróceniem wzroku (CRR) po 12. (32,9% vs 19,6%, $p=0,003$) i 24. miesiącach (31,9% vs 16,1%, $p=0,001$). Wskaźniki CRW były istotnie niższe w grupie leczonych w porównaniu z nieleczonymi w obu punktach czasowych (po 12. mies. 4,9% vs 16,9%, $p=0,006$; po 24. mies. 2,9% vs 20,0%, $p<0,001$). U pacjentów <18 lat w momencie wystąpienia objawów, wskaźnik CRB był porównywalnie wysoki zarówno w grupie leczonych, jak i nieleczonych [postać podostra/dynamiczna (50,0% vs 63,6%, $p=0,33$); postać przewlekła (68,8% vs 54,1%, $p=0,13$)]. Częstotliwość i rodzaj TEAE były zgodne z oczekiwaniami i nie zaobserwowano żadnych nowych sygnałów z zakresu bezpieczeństwa.

Analizując badanie LEROS należy zauważyć, że jest to otwarte badanie interwencyjne, kontrolowane naturalnym przebiegiem choroby, co powoduje, że wiarygodna ocena skuteczności leku jest utrudniona, zwłaszcza, że w omawianym problemie zdrowotnym możliwa jest spontaniczna poprawa jakości widzenia.

Nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych, dotyczących leczenia dziedzicznej neuropatii nerwów wzrokowych Lebera, względem wyszukiwania przeprowadzonego na potrzeby raportu z 2022 roku.

Problem ekonomiczny

Nie odnaleziono informacji o aktualnej cenie produktu leczniczego Raxone. Roczny koszt stosowania produktu Raxone u jednego pacjenta (założono zapadalność na LHON na poziomie 10 pacjentów rocznie) oszacowano na 231,3 tys. PLN. Roczny koszt leczenia szacowanej populacji docelowej to ok. 1,25 mln PLN dla I roku, 3,57 mln PLN dla II roku i 4,63 mln PLN dla III roku (i kolejnych) wydawania zgód na refundację. Głównymi ograniczeniami analizy są niepewność co do czasu trwania leczenia oraz wielkości populacji docelowej, jak również ceny leku. W analizie uwzględniono tylko koszt leku, natomiast nie uwzględniono wymogu odniesienia przez pacjenta korzyści z leczenia, co może powodować przeszacowanie obliczonych kosztów terapii.

Uwzględniając wyszukiwanie rekomendacji refundacyjnych, przeprowadzone w 2022 roku, obecnie odnaleziono projekt negatywnej rekomendacji NICE, w której stwierdzono, że ogólnie rzecz biorąc, nie jest pewne, jak skuteczny jest idebenon w porównaniu ze standardową opieką, a w celu oszacowania jego potencjalnych korzyści potrzebne są dalsze badania.

Główne argumenty decyzji:

- Wyniki dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa pochodzą w większości z badań o niskiej wiarygodności, bez grupy kontrolnej;
- W przebiegu LHON możliwa jest spontaniczna poprawa jakości widzenia, co dodatkowo utrudnia wiarygodną ocenę skuteczności idebenonu;
- Istnieje istotna niepewność oszacowań co do czasu trwania leczenia oraz liczby pacjentów, którzy będą poddani leczeniu;
- Efektywność kosztowa terapii jest trudna do oszacowania;
- Nie pojawiły się nowe dowody naukowe, które zmieniłyby dotychczasowe stanowisko Rady.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.2.2025 „Raxone (idebenon) we wskazaniu: dziedziczna neuropatia nerwów wzrokowych Lebera w populacji pacjentów pediatrycznych – kontynuacja leczenia, w którym pacjent odniósł korzyść”, data ukończenia: 16 maja 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 85/2025 z dnia 19 maja 2025 roku
o projekcie programu „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy
Malczyce”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Malczyce”.

Uzasadnienie

Analizowano projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Malczyce. Populację docelową stanowią mieszkańcy gminy Malczyce, którzy posiadają skierowanie od lekarza specjalisty lub lekarza POZ. W ramach programu zaplanowano realizację indywidualnego planu rehabilitacyjnego obejmującego cykl zabiegów fizjoterapeutycznych. Realizację programu zaplanowano na lata 2025-2026. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 290 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Malczyce. Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest konieczność zapewnienia rehabilitacji leczniczej osobom z przewlekłymi i pourazowymi schorzeniami układu ruchu oraz układu nerwowego. Wnioskodawca przedstawił szeroką listę jednostek chorobowych, które potencjalnie kwalifikują się do postępowania rehabilitacyjnego. Wskazano m.in. na choroby stawów, kręgosłupa, mięśni, nerwów oraz powikłania po pandemii COVID-19. Mimo, że na terenie gminy nie ma jednostek udzielających świadczeń rehabilitacyjnych, to oceniany projekt programu zawiera wiele braków, które nie pozwalają na pozytywną opinię. Są to:

- *Kwestie formalne*

W odniesieniu do całego projektu wnioskodawca używa określenia „program zdrowotny”, co jest nieprawidłowe i niezgodne z ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach.

- *Problem zdrowotny i epidemiologia*

Opis problemu zdrowotnego został opisany w sposób zdawkowy.

Nie przedstawiono bibliografii i nie wskazano źródeł, na podstawie których opracowano opis problemu zdrowotnego.

Przedstawione dane epidemiologiczne budzą wątpliwości.

Nie odniesiono się do aktualnych Map Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026.

Wnioskodawca odniósł się do Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych (Dz.U. 2018 poz. 469), które, zgodnie z informacjami zamieszczonymi na stronie internetowej ISAP, zostało uznane za uchylone.

- *Cele i mierniki*

Cel główny składa się z wielu odrębnych założeń.

W projekcie nie przedstawiono poprawnie sformułowanego celu szczegółowego.

Wszystkie przedstawione wskaźniki zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy i nie spełniają funkcji mierników efektywności.

- *Populacja i interwencja*

W programie nie wskazano jednoznacznie, ilu mieszkańców zostanie objętych programem w ujęciu rocznym ani w całym okresie realizacji PPZ.

Zapisy dotyczące populacji docelowej są nieprecyzyjne.

W projekcie programu nie przedstawiono wyodrębnionych kryteriów włączenia i wyłączenia.

W jednej części projektu wskazano na wymóg zameldowania na terenie gminy, z kolei w innym miejscu wskazano na zamieszkiwanie.

Przedstawiony opis interwencji został opisany zdawkowo i chaotycznie.

W projekcie PPZ nie zaplanowano przeprowadzenia działań edukacyjnych.

W projekcie nie opisano sposobu zakończenia udziału w programie.

- *Organizacja PPZ*

W projekcie PPZ nie wskazano jednoznacznie, że realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert.

- *Monitorowanie i ewaluacja*

W projekcie nie przedstawiono wskaźników mających zastosowanie w procesie oceny zgłaszalności.

Nie zaplanowano narzędzi umożliwiających ocenę jakości świadczeń ani nie załączono wzoru ankiety satysfakcji.

W treści programu przedstawiono ankietę ewaluacyjną przeznaczoną do wypełnienia przez pacjenta przed rozpoczęciem oraz po zakończeniu cyklu zabiegów rehabilitacyjnych. Ankieta ma charakter deklaracyjny i opiera się na samoocenie pacjenta. W programie nie określono, w jaki sposób będą agregowane i interpretowane wyniki ankiet, ani jakie wartości zmiany będą uznane za klinicznie istotne.

- *Budżet*

Wnioskodawca nie przedstawił kosztów jednostkowych poszczególnych interwencji przewidzianych w programie.

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.431.26.2025 „Rehabilitacja lecznicza mieszkańców Gminy Malczyce” realizowany przez: Gminę Malczyce, Warszawa, maj 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 86/2025 z dnia 19 maja 2025 roku
w sprawie przeniesienia produktów leczniczych zawierających
substancje czynne bosutynib i nilotynib z programu lekowego
B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową
(ICD-10:C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne przeniesienie produktów leczniczych zawierających substancje czynne bosutynib i nilotynib z programu lekowego B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10:C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych z substancją czynną nilotynib w nowym wskazaniu, dotychczas nieobjętym refundacją, w ramach kategorii dostępności refundacyjnej: leki stosowane w ramach chemioterapii: we wskazaniu określonym stanem klinicznym.

Uzasadnienie

5 maja 2025 r. Rada Przejrzystości wydała opinie:

- *nr 72/2025 z dnia 5 maja 2025 roku w sprawie przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancję czynną bosutynib z programu lekowego B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10:C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii;*
- *nr 73/2025 z dnia 5 maja 2025 roku w sprawie zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej substancji czynnej nilotynib oraz objęcia refundacją w nowym wskazaniu.*

Niniejsza opinia podjęta zostaje w związku z nowym zleceniem Prezesa Agencji dla Rady Przejrzystości dot. dokonania ponownej oceny zasadności przeniesienia produktów leczniczych zawierających substancje czynne bosutynib i nilotynib z programu lekowego B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10:C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii i w pełni zastępuje dwie ww. decyzje Rady z dnia 5 maja 2025 r.

Nilotynib i bosutynib są inhibitorami kinazy tyrozynowej bcr-abl, patologicznie aktywnej w komórkach przewlekłej białaczki szpikowej. Inhibitory kinazy tyrozynowej (TKI) do których należy: imatynib, dazatynib, nilotynib, bosutynib, ponatynib, radotynib, flumatynib stosowane w terapii przewlekłej białaczki są skuteczne, gdyż zapewniają do 90% remisji. Produkty lecznicze zawierające nilotynib i bosutynib są objęte refundacją w ramach programu lekowego: B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10; C92.1)” we wskazaniu klinicznym: przewlekła białaczka szpikowa z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+). W ramach programu lekowego oba wymienione TKI są refundowane w leczeniu chorych na oporną lub nawrotową przewlekłą białaczkę szpikową lub chorych na przewlekłą białaczkę szpikową z nietolerancją imatynibu. Zgodnie z aktualnymi wytycznymi NCCN 2025 (National Comprehensive Cancer Network), dotyczącymi leczenia przewlekłej białaczki szpikowej, nilotynib i bosutynib są wymieniane jako preferowane leki I wyboru w leczeniu przewlekłej białaczki szpikowej niskiego/średniego i dużego ryzyka. Są również wymieniane w schematach leczenia II wyboru. W wytycznych Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej 2020 nilotynib jest wymieniany jako lek I wyboru w terapii przewlekłej białaczki szpikowej oraz II wyboru po niepowodzeniu lub nietolerancji imatynibu lub dazatynibu lub jako lek III wyboru po niepowodzeniu lub nietolerancji dazatynibu lub bosutynibu. Bosutynib jest wymieniany jako lek II wyboru po niepowodzeniu lub nietolerancji imatynibu lub dazatynibu lub nilotynibu oraz jako lek III linii leczenia po niepowodzeniu lub nietolerancji dazatynibu lub nilotynibu. Przeprowadzone badania kliniczne, choć ich liczba jest ograniczona, wskazują, że TKI drugiej generacji mają nieco lepszą skuteczność terapeutyczną niż imatynib, ale stosowanie imatynibu jest bardziej bezpieczne dla pacjentów.

Kierując się aktualnymi wytycznymi klinicznymi, Rada Przejrzystości uważa za zasadne przeniesienie produktów leczniczych zawierających bosutynib lub nilotynib z programu lekowego: B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10; C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii w przewlekłej białaczce szpikowej z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w przypadku leczenia dorosłych chorych na przewlekłą białaczkę szpikową w fazie przewlekłej lub akceleracji, w przypadku oporności lub nietolerancji na stosowane leczenie, w tym leczenie imatynibem (zgodnie z rekomendacjami European Leukemia Net i Polish Adult Leukemia Group) (populacja A) oraz w chemioterapii dorosłych chorych z nowo rozpoznaną przewlekłą białaczką szpikową z udokumentowaną

obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w fazie przewlekłej z wysokim ryzykiem wg ELTS (EUTOS long-term survival score) (populacja B). Wielkość populacji B oszacowano łącznie na ok. 20% wszystkich chorych z nowo rozpoznaną przewlekłą białaczką szpikową w fazie przewlekłej (czyli chorzy, którzy w I linii leczenia mogliby otrzymać TKI 2 generacji, tj. nilotynib, bosutynib lub dazatynib). Przewidywana populacja docelowa: 337 chorych (2025 r.); 344 chorych (2026 r.) 351 chorych (2027 r.)

Rada Przejrzystości uważa również za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych zawierających nilotynib w nowym wskazaniu klinicznym - nowo rozpoznana u osób dorosłych przewlekła białaczka szpikowa z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w fazie przewlekłej z wysokim ryzykiem wg ELTS (EUTOS long-term survival score).

Analiza ekonomiczna

Przyjęto 2-letni horyzont czasowy (2026 – 2027).

Przeniesienie nilotynibu do katalogu chemioterapii w przypadku populacji A - leczenie dorosłych chorych na przewlekłą białaczką szpikową w fazie przewlekłej lub akceleracji, w przypadku oporności lub nietolerancji na uprzednio stosowane leczenie, w tym leczenie imatynibem, może wiązać się ze spadkiem wydatków płatnika o 1,501 (zakres oszacowań od -1,384 mln PLN do -1,621mln PLN) w pierwszym roku oraz o 1,571 mln PLN (zakres oszacowań od -1,442 mln PLN do -1,700 mln PLN) w drugim roku horyzontu czasowego. W przypadku wymienionej populacji, przeniesienie bosutynibu do katalogu chemioterapii może wiązać się ze wzrostem wydatków płatnika w pierwszym i drugim roku o odpowiednio 30 tys. PLN (zakres oszacowań od 24 tys. do 36 tys. PLN) i 33 tys. PLN (zakres oszacowań od 26 tys. PLN do 40 tys. PLN). Przeniesienie bosutynibu do katalogu chemioterapii w przypadku populacji B - leczenie dorosłych chorych z nowo rozpoznaną przewlekłą białaczką szpikową z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w fazie przewlekłej z wysokim ryzykiem wg ELTS (EUTOS long-term survival score) spowoduje, przy braku refundacji nilotynibu, wzrost wydatków płatnika o 3,943 mln PLN w pierwszym roku oraz o 4.023 mln PLN w drugim roku horyzontu czasowego.

Objęcie refundacją produktów leczniczych nilotynibu w populacji B może wiązać się ze wzrostem wydatków o 6,680 mln PLN (zakres oszacowań 5,812 mln PLN do 7,552 mln PLN) w pierwszym roku oraz 6,818 mln PLN (zakres oszacowań 5,878 mln PLN do 7,750 mln PLN) w drugim roku horyzontu czasowego.

W przypadku braku refundacji bosutynibu, przeniesienie do katalogu chemioterapii i objęcie refundacją produktów z nilotynibem w wymienionej grupie chorych spowoduje wzrost wydatków w pierwszym i drugim roku, odpowiednio o 6,077 mln PLN i 6,201 mln PLN.

Główne argumenty decyzji:

- Aktualne wytyczne kliniczne (NCCN 2025, PTOK 2020) wskazują na nilotynib i bosutynib jako leki I lub II wyboru w terapii przewlekłej białaczki szpikowej z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) u osób dorosłych;
- Przeniesienie produktów leczniczych zawierających nilotynib lub bosutynib z programu lekowego B.14. do katalogu chemioterapii w przypadku leczenia dorosłych chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w fazie przewlekłej lub akceleracji, w przypadku oporności lub nietolerancji na stosowane leczenie, w tym leczenie imatynibem, jest korzystne dla budżetu płatnika;
- Objęcie refundacją produktów leczniczych zawierających nilotynib u chorych z nowo rozpoznaną przewlekłą białaczką szpikową z udokumentowaną obecnością genu BCR-ABL1 lub chromosomu Filadelfia (Ph+) w fazie przewlekłej z wysokim ryzykiem wg ELTS (EUTOS long-term survival score) zapewni lepsze możliwości terapeutyczne w tej grupie chorych;
- Przeniesienie substancji z programu lekowego B.14. do katalogu leków stosowanych w chemioterapii wiąże się ze zmniejszeniem obciążenia personelu oddziałów, klinik i poradni dodatkową pracą administracyjną.

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.422.0.23.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej substancji czynnej bosutynib Przeniesienie z programu lekowego B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10:C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii”, data ukończenia: 15 maja 2025 r. oraz raportu nr: OT.422.0.24.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności zmiany kategorii dostępności refundacyjnej substancji czynnej nilotynib oraz objęcia refundacją w nowym wskazaniu Przeniesienie z programu lekowego: B.14. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.1)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii”, data ukończenia: 15 maja 2025 r.