



BP.401.8.2025.BW

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 22/2025
w dniu 26 maja 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 10:30.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Andrzej Dąbrowski
5. Paweł Grzesiewski
6. Maciej Karaszewski
7. Marcin Kołakowski
8. Ewa Obuchowicz
9. Zbigniew Siudak
10. Anna Socha-Banasiak

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu TLI na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez MZ:
 - 1) Adzynma (rADAMTS13) do stosowania w leczeniu niedoboru ADAMTS13 u dzieci i pacjentów dorosłych z wrodzoną zakrzepową plamicą małopłytkową (cTPP);
 - 2) Elahere (mirwetuksymab sorawtanzyny) w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentek z opornym na platynę, surowiczym, o wysokim stopniu złośliwości nabłonkowym rakiem jajnika, rakiem jajowodu lub pierwotnym rakiem otrzewnej z dodatnim receptorem folianowym alfa (FRa), które otrzymały wcześniej od jednego do trzech schematów leczenia systemowego;
 - 3) Spexotras HGG (trametinib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o wysokim stopniu złośliwości (ang. high-grade glioma, HGG) z mutacją BRAF V600E, którzy otrzymali wcześniej przynajmniej jeden cykl leczenia radioterapią i (lub) chemioterapią;

- 4) Spexotras LGG (trametynib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o niskim stopniu złośliwości (ang. low-grade glioma, LGG) z mutacją BRAF V600E, którzy wymagają terapii systemowej;
 - 5) Loqtorzi NPC (toripalimab) w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nawrotowym, niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii bądź przerzutowym rakiem nosogardła;
 - 6) Zynyz (retifanlimab) do stosowania w monoterapii w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z przerzutowym lub nawracającym miejscowo zaawansowanym rakiem z komórek Merkla (ang. Merkel cell carcinoma, MCC) niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego B.159. „Leczenie chorych na raka szyjki macicy (ICD-10: C53)”.
 4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Vistogard (uridine triacetate) we wskazaniu: encefalopatia padaczkowa i rozwojowa wrażliwa na urydynę (wynik potwierdzony badaniem genetycznym - w badaniu typu WES: encefalopatia rozwojowa i padaczkowa typu 50 spowodowana mutacją w genie CAD).
 5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Ińsko na lata 2026-2032”.
 6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji osób z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”.
 7. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Anna Socha-Banasiak zgłosiła konflikt interesów odnoszący się do wykazu TLI na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (lek Elahere), w związku z czym Rada podjęła decyzję, że podczas głosowania w ww. zakresie jej głos będzie liczony jako wstrzymujący. Żaden z pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitycy Agencji przedstawili prezentacje dot. poszczególnych produktów z wykazu TLI.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Ewa Obuchowicz, Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Artur Bachta.

Projekt opinii Rady przedstawili: Artur Bachta, Maciej Karaszewski i Zbigniew Siudak, a w doprecyzowaniu jej treści udział wzięli: Maciej Karaszewski, Marcin Kołakowski i Małgorzata Bała.

Posiedzenie opuścił Artur Bachta.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym”, z uwagi na konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Posiedzenie opuścił Maciej Karaszewski.

Ad 3. Analityk Agencji streścił raport dot. produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumabum).

Projekt stanowiska Rady przedstawił Paweł Grzesiewski, a w doprecyzowaniu jego treści uczestniczyli Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił kluczowe dane z raportu dot. Vistogard (uridine triacetate).

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Bała i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak, a w doprecyzowaniu jego treści wypowiedzieli się: Małgorzata Bała, Anna Czerniecka-Kubicka i Andrzej Dąbrowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk streścił opracowanie dot. programu polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej, a projekt opinii Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Wobec braku głosów w dyskusji Rady, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji osób z mózgowym porażeniem dziecięcym”.

Projekt opinii Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz, po czym w dyskusji i doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Marcin Kołakowski, Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:56.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 87/2025 z dnia 26 maja 2025 roku
w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem
uwzględnienia na liście technologii lekowych
o wysokim poziomie innowacyjności

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne uwzględnienie na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia następujących technologii medycznych:

- 1. Adzynma (rADAMTS13) do stosowania w leczeniu niedoboru ADAMTS13 u dzieci i pacjentów dorosłych z wrodzoną zakrzepową plamicą małopłytkową (cTTP);*
- 2. Spexotras HGG (trametynib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o wysokim stopniu złośliwości (ang. high-grade glioma, HGG) z mutacją BRAF V600E, którzy otrzymali wcześniej przynajmniej jeden cykl leczenia radioterapią i (lub) chemioterapią;*
- 3. Spexotras LGG (trametynib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o niskim stopniu złośliwości (ang. low-grade glioma, LGG) z mutacją BRAF V600E, którzy wymagają terapii systemowej.*

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne uwzględnienie na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia następujących technologii medycznych:

- 1. Elahere (mirwetuksymab sorawtanzyny) w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentek z opornym na platynę, surowiczym, o wysokim stopniu złośliwości nabłonkowym rakiem jajnika, rakiem jajowodu lub pierwotnym rakiem otrzewnej z dodatnim receptorem folianowym alfa (FRα), które otrzymały wcześniej od jednego do trzech schematów leczenia systemowego;*
- 2. Loqtorzi NPC (toripalimab) w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nawrotowym, niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii bądź przerzutowym rakiem nosogardła;*

3. *Zynyz (retifanlimab) do stosowania w monoterapii w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z przerzutowym lub nawracającym miejscowo zaawansowanym rakiem z komórek Merkla (ang. Merkel cell carcinoma, MCC) niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii.*

Uzasadnienie

Dokonując wyboru technologii spośród zakwalifikowanych przez AOTMiT do wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, a ujętych w projekcie listy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia, Rada Przejrzystości kierowała się następującymi kryteriami, składającymi się na ocenę innowacyjności technologii:

- zaspokojenie potrzeby zdrowotnej - istotność schorzenia (obejmująca ciężkość skutków i szacowana liczba pacjentów, którzy chorują bądź zachorują na daną chorobę) dostępność w Polsce i skuteczność dostępnych technologii lekowych w tym schorzeniu;*
- siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczność i bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu;*
- jakość dostępnych dowodów naukowych;*
- niepewność wnioskowania;*
- koszty terapii.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40a ust. 5 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 1285 z późn. zm.), w związku ze zleceniem przygotowania opinii w zakresie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez Ministra Zdrowia zawartym w piśmie Ministra Zdrowia znak PLR2.4504.144.2025.5.PR z dnia 19 maja 2025 r., z uwzględnieniem opracowań analitycznych nr: WS.425.1.2024.25 „Adzynma (rADAMTS13) we wskazaniu: w leczeniu niedoboru ADAMTS13 u dzieci i pacjentów dorosłych z wrodzoną zakrzepową plamicą małopłytkową (cTTP)”; data ukończenia: 05.02.2025 r.; WS.425.1.2024.34 „Elnhere (mirwetuksymab sorawtanzyny) we wskazaniu: w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentek z opornym na platynę, surowiczym, o wysokim stopniu złośliwości nabłonkowym rakiem jajnika, rakiem jajowodu lub pierwotnym rakiem otrzewnej z dodatnim receptorem folianowym alfa (FR α), które otrzymały wcześniej od jednego do trzech schematów leczenia systemowego; data ukończenia: 12.02.2025 r.; WS.425.1.2024.12 „Zynyz (retifanlimab) we wskazaniu: do stosowania w monoterapii w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z przerzutowym lub nawracającym miejscowo zaawansowanym rakiem z komórek Merkla (ang. Merkel cell carcinoma, MCC) niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii”; data ukończenia: 03.02.2025 r.; WS.425.1.2024.26 „Loqtorzi NPC (toripalimab) we wskazaniu: w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną w leczeniu pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nawrotowym, niekwalifikującym się do leczenia chirurgicznego ani radioterapii bądź przerzutowym rakiem nosogardła”; data ukończenia: 14.02.2025 r.; WS.425.1.2024.4 „Spexotras HGG (trametynib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania

w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o wysokim stopniu złośliwości (ang. high-grade glioma, HGG) z mutacją BRAF V600E, którzy otrzymali wcześniej przynajmniej jeden cykl leczenia radioterapią i (lub) chemioterapią”; data ukończenia: 07.02.2025 r.; WS.425.1.2024.3 „Spexotras LGG (trametynib) w skojarzeniu z dabrafenibem do stosowania w leczeniu dzieci i młodzieży w wieku 1 roku i starszych z glejakiem o niskim stopniu złośliwości (ang. low-grade glioma, LGG) z mutacją BRAF V600E, którzy wymagają terapii systemowej”; data ukończenia: 07.02.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 64/2025 z dnia 26 maja 2025 roku
w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach
programu lekowego B.159. „Leczenie chorych na raka szyjki macicy
(ICD-10: C53)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 4 ml, GTIN: 05901549325126 w ramach programu lekowego B.159. „Leczenie chorych na raka szyjki macicy (ICD-10: C53)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego wydatki płatnika publicznego typu capping.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego B.159. „Leczenie chorych na raka szyjki macicy (ICD-10: C53)”.

Wskazany produkt posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydane przez Europejską Agencję Leków (data wydania pierwszego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu: 17 lipca 2015 r. Data ostatniego przedłużenia pozwolenia: 24 marca 2020 r.).

Produkt leczniczy Keytruda jest wskazany do stosowania w leczeniu raka szyjki macicy. Wskazanie zgodne z wnioskiem refundacyjnym to pierwotne leczenie chorych na nowodiagnozowanego, miejscowo zaawansowanego raka szyjki macicy (stopień III-IVA zgodnie z klasyfikacją FIGO z 2014 r., wedle opisanych kryteriów kwalifikacji w programie lekowym). Przy czym należy wskazać, że rozszerzenie wskazania rejestracyjnego o leczenie nowodiagnozowanego miejscowo zaawansowanego raka szyjki macicy nastąpiło 21.10.2024 r.

Zgodnie z raportem AOTMiT, wedle oceny eksperta, obecna liczba chorych na raka szyjki macicy w Polsce to ok. 3000 osób, liczba nowych zachorowań

w ciągu roku w Polsce wynosi 2267, natomiast u 1130 osób oceniana technologia byłaby stosowana w przypadku objęcia jej refundacją (wnioskodawca zakłada znacznie mniejszą liczbę – [REDACTED]).

Produkt leczniczy Keytruda nie był dotychczas przedmiotem oceny w AOTMiT w leczeniu chorych na nowozdiagnozowanego, miejscowo zaawansowanego raka szyjki macicy.

Należy przy tym wskazać, że obecnie program lekowy B.159 obejmuje leczenie pembrolizumabem na późniejszym etapie zaawansowania choroby (tj. u pacjentek z przetrwałym, nawrotowym lub przerzutowym rakiem szyjki macicy). Oceniany wniosek dotyczy rozszerzenia programu lekowego w zakresie pierwotnego leczenia chorych na nowozdiagnozowanego, miejscowo zaawansowanego raka szyjki macicy.

Rak szyjki macicy (ang. cervical cancer) jest czwartym najczęściej występującym nowotworem wśród kobiet na świecie (wg ICO 2023) oraz szóstym wśród kobiet w Polsce (trzecim najczęściej występującym wśród kobiet w wieku 15-44 lat), (wg ICO 2023pl). Dotyczy dolnej, wąskiej części macicy, a do jego rozwoju dochodzi w sytuacji, gdy zdrowe komórki macicy zmieniają się i rozwijają w sposób niekontrolowany. Nowotwór rozwija się na powierzchni komórek macicy, a z biegiem czasu może wnikać głębiej w macicę i sąsiadujące tkanki.

Rak szyjki macicy rozwija się powoli i może nie dawać żadnych objawów, natomiast dzięki badaniom cytologicznym możliwa jest diagnoza we wczesnym stadium choroby. W większości przypadków przyczyną nowotworu jest infekcja wirusem brodawczaka ludzkiego (HPV).

Rokowanie w raku szyjki macicy zależy przede wszystkim od stopnia zaawansowania nowotworu. Im niższy stopień zaawansowania, tym odsetek 5-letnich przeżyć jest większy. W przypadku nowotworu w stadium IA, odsetek 5-letnich przeżyć wynosi ok. 93%, zaś w przypadku nowotworu w stadium IVB – 15%.

Refundowane terapie: w leczeniu pacjentek z nowozdiagnozowanym, miejscowo zaawansowanym rakiem szyjki macicy aktualnie można zastosować następujące substancje czynne: bleomycyna, karboplatyna, cisplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, doksorubicyna, etopozyd, fluorouracyl, ifosfamid, irynotekan, paklitaksel, topotekan, winkrystyna, winorelbina. Natomiast jako najbardziej odpowiedni komparator dla ocenianej technologii należy wskazać chemioradioterapię (radioterapia wiązką zewnętrzną z jednoczesną chemioterapią opartą na związkach platyny z następczą brachyterapią). Skojarzenie radioterapii opartej na kombinacji EBRT w obrębie miednicy z chemioterapią opartą na związkach platyny (cisplatyna/ carboplatyna) oraz brachyterapii u pacjentek z rakiem szyjki macicy jest finansowane ze środków publicznych.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 1 pierwotne badanie z randomizacją (KEYNOTE-A18), porównujące PEMBR w skojarzeniu z CRT w porównaniu do samej CRT.

Populację badania KEYNOTE-A18, włączonego do analizy klinicznej, stanowiły dorosłe pacjentki z nowozdiagnozowanym, miejscowo zaawansowanym rakiem szyjki macicy wysokiego ryzyka w stopniu IB2-IIIB z zajętymi węzłami chłonnymi lub w stopniu III-IVA niezależnie od zajęcia węzłów chłonnych. W analizie klinicznej wyniki skuteczności przedstawiono wyłącznie dla podgrupy pacjentek z miejscowo zaawansowanym rakiem szyjki macicy w stopniu III-IVA wg FIGO 2014, zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym w EMA i wnioskowanym projektem programu lekowego B.159.

Przeżycie całkowite stanowiło pierwszorzędkowy PK badania KEYNOTE-A18. W grupie interwencji wykazano redukcję ryzyka zgonu o 43%, w porównaniu do grupy kontrolnej [HR=0,57 (95%CI: 0,39; 0,83), p=0,0016]. Mediana OS nie została osiągnięta w obu grupach. W grupie interwencji odnotowano 43/296 (14,5%) zgonów, a w grupie kontrolnej 73/305 (23,9%). Całkowita odpowiedź na leczenie (CR) została stwierdzona u 64% pacjentów leczonych PEMBR + CRT w porównaniu do 54,7% pacjentów leczonych PLC + CRT. Wykazano istotną statystycznie wyższość w częstości osiągnięcia całkowitej odpowiedzi na leczenie na korzyść grupy interwencji [RR=1,17; (95%CI: 1,02; 1,34); p=0,021].

W badaniu KEYNOTE-A18 stwierdzono występowanie IS różnicy na korzyść PEMBR + CRT względem PLC + CRT dla PK: PFS, OS, całkowita odpowiedź na leczenie. Dla pozostałych PK dotyczących odpowiedzi na leczenie nie wykazano różnic istotnych statystycznie.

Zdarzenia niepożądane zaistniałe w trakcie leczenia:

U 413 (78,2%) pacjentek z grupy interwencji i u 371 (70%) pacjentek z grupy kontrolnej odnotowano TEAE 3.-5. stopnia [RR=1,12 (95%CI: 1,04; 1,20), p=0,002]. Istotnie statystycznie różnice na niekorzyść PEMBR + CRT stwierdzono również w częstości raportowania TEAE 3.-5. stopnia [RR=1,12 (95%CI: 1,04; 1,20), p=0,002].

Zdarzenia niepożądane związane z leczeniem:

U 102 (19,3%) pacjentek z grupy interwencji i u 71 (13,4%) pacjentek z grupy kontrolnej zareportowano wystąpienie ciężkich zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem [RR=1,44 (95%CI: 1,09; 1,90), p=0,010]. W grupie interwencji u 365 (69,1%) pacjentek wystąpiło jakiegokolwiek TRAE 3.-5. stopnia, a w grupie kontrolnej u 325 pacjentek (61,3%) [RR=1,13 (95%CI: 1,03; 1,23), p=0,008]. Istotnie statystycznie różnice na niekorzyść PEMBR + CRT stwierdzono również w częstości raportowania TRAE prowadzących do przerwania leczenia którymkolwiek z leków [RR=1,44 (95%CI: 1,09; 1,91), p=0,011].

Ograniczenia jakości badań zidentyfikowane przez analityków AOTMiT dotyczą między innymi nieistotnej statystycznie różnicy dla subpopulacji w wieku 65 lat, IB2-IIB, rasy białej, ECOG 1. W związku z powyższym nie możemy wykluczyć czy w subpopulacji pacjentek z rakiem szyjki macicy w stopniu III-IVA wg FIGO 2014 w powyżej wskazanych podgrupach też nie będziemy obserwować nieistotnych statystycznie wyników. Istnieje ryzyko, że w populacji objętej wnioskowanym programem lekowym wyniki mogą być nieistotne statystycznie lub osiągnięty będzie gorszy efekt. Nadto wskazano, że w badaniu nie brały udziału polskie ośrodki badawcze oraz na ograniczoną wiarygodność przedstawionych wyników z powodu nieukończonego jeszcze badania KEYNOTE-A18, zmianę PK PFS z oceny przez zaślepioną, niezależną centralną komisję na ocenę przez badacza, krótki okres obserwacji, co wpływa na dojrzałość danych dotyczących przeżycia.

Wytyczne kliniczne

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono 4 dokumenty, zawierające rekomendacje dotyczące terapii pacjentek z miejscowo zaawansowanym rakiem szyjki macicy.

W wytycznych SEOM/GEICO 2024 wskazano, że dodanie pembrolizumabu do chemioradioterapii (CRT) prawdopodobnie stanie się standardem leczenia LACC. Wytyczne PTGO 2024 wskazują, iż optymalnym wyborem w leczeniu pacjentek z rakiem szyjki macicy w stadium IB2-IVA jest pembrolizumab w połączeniu z jednoczesną chemioradioterapią i terapią podtrzymującą. W wytycznych NCCN 2025 wskazano następujący schemat leczenia pacjentek z rakiem szyjki macicy w stadium IIB-IVA, bez przerzutów odległych: radioterapia z pól zewnętrznych (EBRT) + jednoczesna chemioterapia oparta na związkach platyny + brachyterapia ± pembrolizumab. Wytyczne KSGO 2025 wskazują, iż do chemioradioterapii u pacjentek z LACC można dodać pembrolizumab.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania Keytruda+CRT vs CRT wyniósł z RSS [] oraz bez RSS 325 066 zł/QALY. Wartość z RSS znajduje się poniżej, a bez RSS powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Cena progowa dla założonego progu opłacalności, tj. 217 641 PLN/QALY, wynosi []. Oszacowana wartość progowa jest niższa od wnioskowanej ceny zbytu netto bez RSS oraz [] od ceny zbytu netto z RSS.

W związku z dużą rozbieżnością pomiędzy oszacowaniami liczby pacjentów kwalifikujących się do terapii pembrolizumabem w skojarzeniu z radiochemioterapią oszacowanymi przez wnioskodawcę a ekspertem klinicznym ([] vs 1130) podjęto decyzje o przeprowadzeniu obliczeń własnych AOTMiT. Zgodnie z tymi obliczeniami w scenariuszu nowym z RSS koszty

całkowite dla budżetu NFZ wyniosą [REDAKTOWANE] odpowiednio w I i II roku. W przypadku wprowadzenia finansowania leku Keytruda we wnioskowanym wskazaniu dodatkowe wydatki płatnika publicznego wyniosą [REDAKTOWANE] odpowiednio w I i II roku.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 1 rekomendację pozytywną – HAS 2025. W rekomendacji pozytywnej zwraca się głównie uwagę na niewystarczająco zaspokojoną potrzebę medyczną oraz wyniki badania KEYNOTE-A18 wskazujące na to, iż Keytruda (pembrolizumab) w skojarzeniu z chemioradioterapią będzie miała dodatkowy wpływ na zachorowalność i śmiertelność. Ponadto odnaleziono dokument IQWIG 2025, w którym wskazano na występowanie dodatkowej korzyści ze stosowania pembrolizumabu w skojarzeniu z chemioradioterapią (przezskórna radioterapia, a następnie brachyterapia) w porównaniu z odpowiednią terapią porównawczą. Zwrócono jednak uwagę na przesłanki wskazujące na większą szkodliwość w niewielkim lub znacznym stopniu w kategorii poważnych/ciężkich zdarzeń niepożądanych, związanych ze stosowaniem produktu leczniczego Keytruda.

Dodatkowo odnaleziono informację o prowadzonej ocenie w NICE, G-BA oraz CADTH, a także informację o odstąpieniu przez AWMSG od oceny ze względu na prowadzoną ocenę NICE.

Produkt leczniczy Keytruda jest finansowany w 3 krajach UE i EFTA.

Główne argumenty decyzji

- Wykazana przewaga leczenia pembrolizumabem w skojarzeniu z chemioradioterapią w porównaniu z samą chemioradioterapią (PFS, OS, całkowita odpowiedź na leczenie).
- Pozytywne rekomendacje i wytyczne kliniczne oraz pozytywna rekomendacja refundacyjna HAS 2025.
- Rozbieżność w zakresie szacunku liczebności populacji docelowej pomiędzy wnioskodawcą a ekspertem, co jest istotne z uwagi na ocenę wpływu na budżet NFZ.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr OT.423.1.18.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego B.159: »Leczenie chorych na raka szyjki macicy (ICD-10: C53)«”; data ukończenia: 14.05.2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem MSD Polska Dystrybucja 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).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 65/2025 z dnia 26 maja 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Vistogard
(uridine triacetate) we wskazaniu encefalopatia padaczkowa
i rozwojowa wrażliwa na urydynę

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Vistogard (uridine triacetate) we wskazaniu encefalopatia padaczkowa i rozwojowa wrażliwa na urydynę (wynik potwierdzony badaniem genetycznym - w badaniu typu WES: encefalopatia rozwojowa i padaczkowa typu 50 spowodowana mutacją w genie CAD).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Encefalopatia rozwojowa i padaczkowa typu 50 spowodowana mutacjami w genie CAD jest autosomalną recesywną chorobą neurodegeneracyjną i neurometaboliczną. Charakteryzuje się występowaniem padaczki, całościowym opóźnieniem rozwoju, niedokrwistością normocytarną i anizopoikilocytozą. W przebiegu choroby występuje utrata umiejętności nabytych we wczesnym dzieciństwie. Choroba najczęściej objawia się w okresie niemowlęcym, przy czym u 90% pacjentów w przeciągu pierwszych 3 lat życia. Choroba jest ultraradka (mniej niż 1 na milion, opisano 51 przypadków w literaturze). Oceniany lek nie jest zarejestrowany w leczeniu encefalopatii rozwojowej i padaczkowej typu 50 oraz nie był wcześniej oceniany przez AOTMiT w omawianym wskazaniu. Pacjenci z encefalopatią rozwojową i padaczkową typu 50 wykazują odpowiedź na leczenie urydyną i jej pochodnymi. Po podaniu leku obserwowano poprawę w rozwoju, cofnięcie regresu rozwojowego, zaprzestanie lub zmniejszenie liczby napadów, poprawę w obrazie EEG, ustąpienie anemii i anizopoikilocytozy.

Choroba cechuje się wysoką śmiertelnością w przypadku braku leczenia (9,5%, wszystkie przypadki zgonów raportowano u pacjentów nieleczonych urydyną lub pochodnymi).

Dowody naukowe

Analiza skuteczności stosowania urydyny może być przeprowadzona jedynie na podstawie 13 publikacji (z czego 9 z nich zostało uwzględnionych w 3 przeglądach niesystematycznych z opisami przypadków (Glangher 2025, Duan

2024 oraz Al-Otaibi 2021) oraz opis przypadku Steinberg-Shemer 2023). W publikacjach opisano poprawę w rozwoju psychomotorycznym, progresie rozwojowym, kontroli napadów, zmniejszeniu liczby leków przeciwpadaczkowych, normalizacji anemii i wyników hematologicznych, zapobieganiu atrofii mózdzku w grupie pacjentów leczonych urydyną. Brak jest również wiarygodnych badań potwierdzających bezpieczeństwo terapii.

Brakuje wytycznych klinicznych odnoszących się do leczenia encefalopatii padaczkowej i rozwojowej wrażliwej na urydynę (typu 50 spowodowana mutacją w genie CAD) oraz rekomendacji refundacyjnych dla produktu leczniczego Vistogard w ocenianym wskazaniu.

Problem ekonomiczny

Brak możliwości oszacowania liczebności pacjentów (choroba ultraradka). Koszt rocznej terapii dla 1 pacjenta wyniesie ponad 3 mln PLN.

Główne argumenty decyzji

- brak wiarygodnych danych naukowych;
- brak rekomendacji klinicznych i refundacyjnych oraz opinii ekspertów klinicznych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa terapii;
- bardzo wysoki koszt terapii;
- lek nie posiada zarejestrowanego ocenianego wskazania.

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 nr: OT.4211.6.2025 „Vistogard (uridine triacetate) we wskazaniu: encefalopatia padaczkowa i rozwojowa wrażliwa na urydynę (wynik potwierdzony badaniem genetycznym – w badaniu typu WES: encefalopatia rozwojowa i padaczkowa typu 50 spowodowana mutacją w genie CAD)” data ukończenia: 21 maja 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 88/2025 z dnia 26 maja 2025 roku
o projekcie programu Program Polityki Zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Ińsko na lata 2026-2032

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej Program Polityki Zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Ińsko na lata 2026-2032, pod warunkiem spełnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Ińsko. Populację docelową stanowią pełnoletni mieszkańcy gminy Ińsko z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego. W ramach realizacji PPZ zaplanowano kompleksową rehabilitację, uwzględniającą wizytę fizjoterapeutyczną, indywidualny plan rehabilitacyjny oraz działania edukacyjne. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 700 000 zł (100 000 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Ińsko (przy ewentualnym dofinansowaniu ze środków NFZ).

Wnioskodawca w sposób szczegółowy przedstawił problem zdrowotny. W projekcie przedstawiono informacje dotyczące jednostek chorobowych wymagających postępowania rehabilitacyjnego. Wśród wymienionych grup problemów wskazano na choroby przewlekłe i zapalne układu kostnowęzłowego i mięśniowego, urazy (złamania, stłuczenia, skręcenia, zwichnięcia) oraz choroby ośrodkowego układu nerwowego. Wnioskodawca odniósł się do poszczególnych schorzeń przedstawiając ich etiologię i charakterystykę. W ramach opisu problemu zdrowotnego wskazano również na istotną rolę rehabilitacji w postępowaniu terapeutycznym.

Należy zaznaczyć, że programy polityki zdrowotnej poświęcone działaniom zapobiegającym wystąpieniu oraz pogłębieniu niepełnosprawności nie są programami o dobrze zdefiniowanym problemie zdrowotnym i ściśle określonej populacji. Niepełnosprawność to długotrwały stan, w którym występują pewne ograniczenia w prawidłowym funkcjonowaniu człowieka. Pojęcie to odnosi się do populacji zróżnicowanych pod kątem rodzaju (kategorii) niepełnosprawności, okresu życia, w którym ona wystąpiła, przyczyny czy stopnia

niepełnosprawności, a tym samym populacji o różnych wymaganiach terapeutycznych, jak również edukacyjnych, czy społecznych.

Oceniany projekt zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie którego przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

Wnioskodawca odniósł się do sytuacji epidemiologicznej, przedstawiając dane światowe, ogólnopolskie, regionalne i lokalne. Wskazano m.in., że „liczba osób cierpiących na dolegliwości ze strony układu kostno-stawowego i mięśniowego w roku 2021 na całym świecie przekraczała 1,7 mld., a dolegliwości bólowe w tej grupie były głównie konsekwencją zaburzeń w obrębie odcinka lędźwiowo-krzyżowego kręgosłupa oraz zwyrodnień stawów”. Wnioskodawca przedstawił informacje nt. epidemiologii urazów na świecie, powołując się na dane WHO, według których urazy zewnętrzne powodują rocznie 4,4 mln zgonów, co odpowiada 8% wszystkich zgonów globalnie. Zaznaczono, że urazy skutkują niepełnosprawnością oraz koniecznością hospitalizacji, co istotnie wpływa na jakość życia. Najczęstszą przyczyną urazów na świecie są wypadki drogowe (24%), następnie upadki (22%), urazy mechaniczne (18%), a także inne przyczyny, w tym samobójstwa (16%), przemoc i działania wojenne. W projekcie przedstawiono także dane regionalne dla województwa zachodniopomorskiego oraz lokalne – dla powiatu stargardzkiego, na terenie którego znajduje się Gmina Ińsko. Odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) wskazując, że w Polsce wskaźnik chorobowości w rehabilitacji ogólnej wyniósł 8 785 porad na 100 tys. mieszkańców, natomiast w województwie zachodniopomorskim – 6 625/100 tys., a na terenie powiatu stargardzkiego – 6 550/100 tys. Zgodnie ze wskazanymi przez wnioskodawcę danymi w analizowanym okresie udzielono w Polsce ponad 1,7 mln rehabilitacyjnych porad lekarskich (4 508/100 tys. mieszkańców), w województwie zachodniopomorskim liczba ta wyniosła 2 661/100 tys. (43,4 tys. porad; 13. miejsce w kraju), a w powiecie stargardzkim – 1 729/100 tys. (2 059 porad). Ponadto zrealizowano w Polsce 5,6 mln wizyt fizjoterapeutycznych (15 081/100 tys. mieszkańców), w województwie zachodniopomorskim – 9 697/100 tys. (158,2 tys. wizyt), a w powiecie stargardzkim – 7 734/100 tys. (9,2 tys. wizyt). Wskazano także, że w powiecie stargardzkim wykonano 504,8 tys. zabiegów fizjoterapeutycznych (423 928/100 tys.), co jest wartością znacznie niższą niż średnia krajowa (263,2 mln zabiegów – 699 523/100 tys.) oraz wojewódzka (2,7 mln – 741 718/100 tys.).

Należy zaznaczyć, że w Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wśród wyzwań systemu opieki zdrowotnej na terenie województwa zachodniopomorskiego wskazuje się, że „wskaźnik liczby pacjentów rehabilitowanych w warunkach ambulatoryjnych na 100 tys. ludności, wskaźnik liczby wizyt fizjoterapeutycznych na 100 tys. ludności oraz wskaźnik liczby zabiegów fizjoterapeutycznych na 100 tys. ludności plasuje województwo na 16 ostatnim miejscu w kraju. Natomiast wskaźnik liczby porad lekarskich

na 100 tys. ludności, plasuje województwo na 12 miejscu”. Dodatkowo wskazano także że „wskaźnik liczby ośrodków na 100 tys. ludności plasuje województwo na 9 miejscu w kraju. Zabezpieczone są świadczenia w 19 na 21 powiatów” oraz że „usługi z zakresu fizjoterapii ambulatoryjnej w województwie udzielane są w każdym powiecie. Natomiast usługi z zakresu lekarskiej ambulatoryjnej opieki rehabilitacyjnej zlokalizowane są w 17 na 21 powiatów”.

Wśród rekomendowanych kierunków działań dla województwa zachodniopomorskiego wskazuje się m.in. na „zwiększenie dostępności do świadczeń fizjoterapii ambulatoryjnej (ostatnie miejsce w kraju)” oraz „zabezpieczenie dostępności do usług dla pacjentów ze wszystkich powiatów województwa w ramach lekarskiej ambulatoryjnej opieki rehabilitacyjnej (poradnie)”.

Głównym założeniem projektu programu jest „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie gminy w latach 2026-2032”. Warto wskazać, że cel główny powinien być wyraźnie zdefiniowany i precyzyjnie (w odniesieniu do planowanego czasu) wytyczony, a jego osiągnięcie powinno stanowić potwierdzenie skuteczności zaplanowanych działań. Cel główny wydaje się możliwy do osiągnięcia w związku z zaplanowanymi w projekcie działaniami z zakresu rehabilitacji leczniczej. W projekcie zaplanowano ocenę stanu funkcjonalnego przy wykorzystaniu skali VAS przed i po realizacji działań rehabilitacyjnych, co pozwoli na ocenę efektywności działań fizjoterapeutycznych w programie. Należy jednak zaznaczyć, że nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej. Wskazano również 1 cel szczegółowy, tj. „utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób obwodowego układu nerwowego oraz chorób układu ruchu u co najmniej 60% osób z populacji docelowej w latach 2026-2032”. Cel szczegółowy wydaje się możliwy do osiągnięcia w związku z zaplanowanymi w projekcie działaniami edukacyjnymi. W projekcie zaplanowano przeprowadzenie pre- i post-testu, co jest działaniem zasadnym. Do projektu załączono przykładowy test, który jednak wzbudza pewne zastrzeżenia. Zawarte w teście pytania nie odzwierciedlają jednoznacznie zakresu tematycznego zaplanowanych w projekcie działań edukacyjnych. Warto podkreślić, że prawidłowo zaplanowana akcja edukacyjna powinna zakończyć się wzrostem lub utrzymaniem wysokiego poziomu wiedzy u wszystkich osób uczestniczących w programie. Należy przy tym zdefiniować co oznacza wysoki poziom wiedzy, co wnioskodawca uwzględnił wskazując na „min. 80% poprawnych odpowiedzi”. Warto jednak wskazać, że w odniesieniu do celu

szczegółowego wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych.

W projekcie programu zaproponowano 2 mierniki efektywności: (1) „odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami (wyniki skali VAS – różnica pomiędzy wartością uzyskaną w pierwszym oraz ostatnim dniu otrzymania świadczeń w programie)” oraz (2) „odsetek osób, u których w postępie odnotowano taki sam wysoki poziom wiedzy względem pre-testu (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub wzrost poziomu wiedzy o co najmniej 20% względem pre-testu”. Należy zaznaczyć, że zgodnie z definicją mierniki efektywności powinny umożliwiać obiektywną i precyzyjną ocenę stopnia realizacji celów oraz powinny być istotnym odzwierciedleniem zdarzeń lub faktów występujących w danym programie wyrażonych w odpowiednich jednostkach miary. Miernik nr 1 odnosi się do celu głównego. Miernik nr 2 odnosi się do celu szczegółowego. Przedstawione mierniki zostały zaplanowane prawidłowo.

Okres realizacji programu zaplanowany został na lata 2026-2032.

Zgodnie z treścią projektu, program rehabilitacji leczniczej będzie skierowany do pełnoletnich mieszkańców Gminy Ińsko z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego. Wnioskodawca zaznacza, że liczba dorosłych mieszkańców Gminy Ińsko wynosi ok. 2,6 tys. osób. Informacje przedstawione w projekcie są zbliżone do danych zamieszczonych na stronie internetowej Głównego Urzędu Statystycznego. Biorąc pod uwagę przedstawione dane epidemiologiczne (współczynnik chorobowości na poziomie 6 550/100 tys.), liczebność populacji kwalifikującej się do udziału w programie oszacowano na około 170 osób. Wnioskodawca zaznaczył jednak, że ze względu na ograniczenia finansowe, gmina planuje objąć PPZ corocznie ok. 100 dorosłych mieszkańców (co stanowi ok. 59% populacji docelowej).

Wnioskodawca przedstawił kryteria włączenia do programu, tj. wiek uczestnika (18 lat lub więcej), zamieszkiwanie na terenie Gminy Ińsko, rozpoznanie choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego oraz pisemna zgoda na uczestnictwo w PPZ.

Wśród kryteriów wyłączenia z programu wskazano: korzystanie ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez Gminę Ińsko, NFZ, ZUS, KRUS lub PFRON z powodu wymienionych w PPZ jednostek chorobowych w okresie 6 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu (potwierdzone oświadczeniem uczestnika).

W ramach realizacji PPZ zaplanowano kompleksową rehabilitację, uwzględniającą wizytę fizjoterapeutyczną, indywidualny plan rehabilitacyjny oraz działania edukacyjne.

W odnalezionych rekomendacjach National Stroke Foundation (NSF 2017) wskazuje się, aby pacjenci otrzymywali tyle świadczeń terapeutycznych, ile „potrzebują” i są w stanie tolerować, aby przystosować, odzyskać i/lub wrócić do optymalnego osiągnięcia niezależności funkcjonowania. Wytyczne National Institute for Health and Care Excellence (NICE 2022) oraz The Royal Australian College of General Practitioners (RACGP 2018) wskazują, że ćwiczenia fizyczne powinny być również istotnym elementem rehabilitacji osób z chorobą zwyrodnieniową stawów niezależnie od wieku, chorób współistniejących, nasilenia bólu czy niepełnosprawności.

Wyniki przeglądu systematycznego badań o różnej metodologii (Boaueziz 2016) wskazują, że stosowanie strategii wielodyscyplinarnej (ang. multicomponent training programmes, MCT) przez seniorów wywiera korzystny wpływ na ich wydolność krążeniowo-oddechową, wyniki metaboliczne, parametry funkcjonalne, sprawności poznawczej oraz jakość życia. Wydaje się zatem, że programy MCT wydają się szczególnie odpowiednie dla seniorów prowadzących siedzący tryb życia, ze względu na skuteczność MCT w zakresie poprawy wydolności układu krążenia. Co więcej, MCT może wspomóc pacjentów w uzyskaniu kontroli nad parametrami metabolicznymi, takich jak profil lipidowy oraz pozwolić na uzyskanie bardziej zrównoważonego składu ciała. W 2 włączonych badaniach zaobserwowano znaczną redukcję poziomu triglicerydów i stężenia lipoprotein o dużej gęstości w surowicy (zmiany w zakresie od 6,0% do 8,2%). Nie wykazano jednak istotnej zmiany poziomu cholesterolu całkowitego oraz lipoprotein o małej gęstości. Znaczącą poprawę zakresie potreningowej siły mięśni w grupie MCT w stosunku do wyniku uzyskanego w grupie kontrolnej stwierdzono w 5 RCT i jednym badaniu innym niż RCT (przyrost w przedziale od 1,4% do 95,0%). Znaczną poprawę sprawności chodu zgłoszono w 7 RCT i 4 nie-RCT, z poprawą zdolności chodu w zakresie od 7,2% do 40,0%. W 3 RCT i 1 badaniu nie-RCT odnotowano znaczącą poprawę funkcji poznawczych w pod wpływem MCT, wykazując wzrost wydajności w funkcjonowaniu poznawczego w zakresie od 1,1% do 30,6%. Jakość życia uległa poprawie w trzech spośród 5 włączonych RCT (wzrost w zakresie od 18,0% do 35,9%).

Wyniki metaanalizy 15 RCT (Hsu 2019) wskazują, że ćwiczenia fizyczne, zwłaszcza oporowe, są niezbędne do uzyskania poprawy składu ciała i sprawności fizycznej u pacjentów z otyłością sarkopeniczną. Wysilek fizyczny istotnie zmniejszy masę ciała (MD=-4,3 kg [95%CI: (-7,61; -0,99)]; $p = 0,01$; $I^2 = 0\%$), BMI (MD=-1,98 kg/m² [95%CI: (-13,29; -0,67)]; $p = 0,003$, $I^2 = 0\%$), masę tkanki tłuszczowej (FM) (MD=-2,99 kg [95%CI: (-4,39; -1,59)]; $p < 0,0001$, $I^2 = 0\%$) i % masy tłuszczowej

(MD=-2,31% [95%CI: (-3,26; -1,36)]; $p = 0,00001$, $I^2 = 0\%$). Wykazano, że ćwiczenia fizyczne istotnie zwiększyły prędkość chodu (MD=0,2 m/s [95%CI: (0,07; 0,33)]; $p = 0,002$; $I^2 = 85$, $p < 0,0001$). Wyniki analizy w podgrupach wskazują na istotny wzrost prędkości chodu tylko pod wpływem ćwiczeń kombinowanych (MD=0,15 m/s [95%CI: (0,04; 0,26)]; $p = 0,006$; $I^2 = 51\%$, $p > 0,05$). Suplementacja białka i flawonoidów u osób wykonujących ćwiczenia fizyczne nie przyniosła istotnych dodatkowych korzyści w zakresie zmiany składu ciała.

Wyniki metaanalizy 9 RCT (De Coninck 2017) dostarczają mocnych dowodów na to, że terapia zajęciowa stosowana u osłabionych fizycznie starszych osób wywiera istotny, umiarkowany wpływ na ich funkcjonowanie w społeczności. Połączone znormalizowane średnie różnice (SMD) dla funkcjonowania w zakresie czynności dnia codziennego wyniosły -0,30 [95%CI: (-0,50; -0,11)]. Interwencja w postaci terapii zajęciowej wiązała się z istotną poprawą mobilności (SMD=-0,45 [95%CI: (-0,78; -0,12)]). Połączone wartości SMD dla punkt końcowego „strach przed upadkiem” wyniosły -0,17 [95%CI: (-0,29; -0,05)], wskazując na istotną skuteczność badanej interwencji. Nie wykazano istotnego wpływu terapii zajęciowej na niepełnosprawność i funkcje poznawcze. Wyniki przeglądu systematycznego 27 RCT (Gurguis-Blake 2018) wskazują, że ćwiczenia fizyczne przynoszą korzyści w zakresie profilaktyki upadków. Dowody dotyczące skuteczności ćwiczeń fizycznych są bardziej spójne niż dowody uzyskane w badaniach, w których analizowano skuteczność interwencji wieloczynnikowych w zapobieganiu upadkom. We wszystkich włączonych badaniach wykazano zmniejszenie liczby upadków pod wpływem analizowanych interwencji. Odnotowano redukcję ryzyka upadku (RR=0,89 [95%CI: (0,81; 0,97)]; $P = 0,01$; $I^2 = 43,9\%$; 15 badań; $n=4926$), z medianą bezwzględnego spadku liczby uczestników doświadczających upadku o 3,8 punktu procentowego oraz zmniejszonym odsetkiem upadków powodujących obrażenia IRR=0,81 [95%CI: (0,73-0,90)]; $I^2 = 0,0\%$; 10 prób; $n = 4\ 622$) z medianą spadku o 0,35 przypadającą na osobo-rok. W 3 badaniach ($n=2\ 047$) stwierdzono zmniejszenie częstości upadków ze złamaniami (IRR w zakresie od 0,26-0,92), a w 5 badaniach ($n=2\ 776$), które oceniały ryzyko upadków z urazami, odnotowano redukcję ryzyka przy szacunkach IRR w zakresie 0,61-0,90. Nie wykazano statystycznie istotnej zależności między interwencjami fizycznymi a śmiertelnością związaną z upadkami.

Główne argumenty decyzji:

- Pozytywne rekomendacje kliniczne;
- Skuteczność ustalona przez korzyści kliniczne;
- Zwiększenie dostępności do świadczeń;
- Program w większości poprawnie skonstruowany.

Uwagi Rady:

- *Nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych w celu głównym i szczegółowym;*
- *Zawarte w teście wiedzy pytania nie odzwierciedlają jednoznacznie zakresu tematycznego zaplanowanych w projekcie działań edukacyjnych.*

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.431.29.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Iłsko na lata 2026-2032”; data ukończenia: maj 2025 r. 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 89/2025 z dnia 26 maja 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod
diagnostyki i rehabilitacji osób z mózgowym porażeniem dziecięcym
na terenie województwa mazowieckiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji osób z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Mózgowe porażenie dziecięce (MPD) jest głównie zaburzeniem neuromotorycznym, które wpływa na rozwój czynności ruchowych, napięcia mięśniowego i postawy, a w konsekwencji na zdolność do poruszania się i trzymania równowagi. Objawy tej choroby są obecne od wczesnego okresu życia. Zaburzeniom motorycznym często towarzyszą zaburzenia czucia, percepcji, zaburzenia poznawcze, komunikacji i zachowania, padaczka oraz wtórne zaburzenia układu mięśniowo-szkieletowego. MPD jest najczęstszą przyczyną niepełnosprawności wśród dzieci i młodzieży w Europie. Skutki ograniczeń związanych z występowaniem MPD są istotne zarówno dla osób chorych, jak i dla ich opiekunów. Ponieważ wyleczenie przyczyn MPD (uszkodzenia mózgu) nie jest możliwe, zgodnie z Międzynarodową Klasyfikacją Funkcjonowania Niepełnosprawności i Zdrowia dla Dzieci i Młodzieży (ICF) Światowej Organizacji Zdrowia celem terapii jest zmniejszenie ograniczeń funkcjonalnych poprzez stymulowanie aktywności. Częstość występowania MPD to ok. 2 przypadki choroby na 1 000 urodzonych dzieci. Dane epidemiologiczne z 2023 r. wskazują, że na Mazowszu jest ok. 3032 dzieci i młodzieży z tym rozpoznaniem. Szacuje się, że ok. 90% tej grupy będzie spełniać kryteria kwalifikacji do proponowanego programu. Programy z zakresu rehabilitacji są potrzebne, gdyż popyt na świadczenia przewyższa podaż. Bardzo ważne są programy, w których proponuje się stosowanie zrobotyzowanych urządzeń w rehabilitacji osób

z porażeniem mózgowym gdyż taki sposób rehabilitacji nie jest obecnie finansowany ze środków publicznych.

Projekty programów adresowanych do dzieci z MPD w woj. mazowieckim Rada Przejrzystości opiniowała już trzy razy: w 2014 r., 2017 r. i 2024 r. Następujące projekty uzyskały warunkowo pozytywną opinię Prezesa AOTMiT.

1). „Zwiększenie efektywności rehabilitacji narządu ruchu u dzieci z Mózgowym Porażeniem Dziecięcym przy użyciu zrobotyzowanej ortezy do rehabilitacji chodu Lokomat” – warunkowo pozytywna opinia Prezesa Agencji nr 276/2014 z 18.12.2014 r.;

2). „Rozszerzenie dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Mazowieckiego” – warunkowo pozytywna opinia Prezesa Agencji nr 88/2017 z 05.05.2017 r.;

3). „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego” – warunkowo pozytywna opinia Prezesa Agencji nr 13/2024 z 14.02.2024 r.

Do Agencji przesłano raport końcowy z realizacji pierwszego z ww. PPZ tj. programu pn. „Zwiększenie efektywności rehabilitacji narządu ruchu u dzieci z Mózgowym Porażeniem Dziecięcym przy użyciu zrobotyzowanej ortezy do rehabilitacji chodu Lokomat” (RK-60-2018 z dn. 16.11.2018 r). Zgodnie z przesłanym raportem, program realizowany był w latach 2016-2018 i objęto nim 171 dzieci z MPD w wieku od 4 do 17 lat. Każdy z uczestników odbył 15 sesji przy użyciu zrobotyzowanej ortezy do rehabilitacji chodu Lokomat – w sumie udzielono 2 565 świadczeń. Przedstawione dane świadczą o dobrym efekcie zrealizowanego programu.

Obecnie realizowany jest program, który uzyskał warunkowo pozytywną opinię Prezesa Agencji nr 13/2024 z dn.14.02.2024 r. Realizator programu Mazowieckie Centrum Neuropsychiatrii Sp. z o. o. zwróciło się z prośbą do woj. mazowieckiego, które finansuje realizację programu, o możliwość włączenia do programu dodatkowo osób w wieku od 18 do 25 r.ż. czyli do wieku, w którym kończy się edukacja. Wnioskodawca zakładał, że po uzyskaniu pozytywnej, bądź warunkowo pozytywnej opinii Prezesa Agencji dotyczącej zmiany populacji docelowej, realizacja programu będzie kontynuowana. Jednakże zgodnie ze stanowiskiem MZ (27.01.2016 r.) program wymaga ponownej oceny, gdyż zmiana populacji docelowej w wyniku przesunięcia górnej granicy wieku z 18 r.ż. do 25 r.ż. stanowi zmianę podstawowych założeń merytorycznych zaopiniowanego programu.

Celem głównym programu ze zmienioną populacją docelową jest poprawa stanu funkcjonalnego u co najmniej 75% osób uczestniczących w programie w latach 2024-2026 poprzez zwiększenie dostępności do nowoczesnych metod diagnostyki

i rehabilitacji zaburzeń funkcji chodu u osób z MPD. Populację docelową będą stanowiły osoby z MPD od 5 do 25 r.ż., mieszkańcy woj. mazowieckiego (ok. 345 osób w ciągu 3 lat). Okres realizacji (2024 – 2026) i harmonogram programu jest taki jak w projekcie ocenianym w 2024 r. W projekcie zostały uwzględnione uwagi zawarte w opinii Prezesa AOTMiT z lutego 2024 r. dotyczące sformułowania celu głównego, celów szczegółowych nr 2 i 3, mierników efektywności, podania przykładowych systemów wykorzystywanych do rehabilitacji chodu. Kryteria włączenia (16 kryteriów) i wyłączenia z programu są właściwe. Wnioskodawca podkreślił, że do programu zostaną zakwalifikowane tylko te osoby, które spełniają jednocześnie wszystkie kryteria włączenia. W związku ze zmianą populacji docelowej, w obecnie ocenianym programie procedura kwalifikacji powinna uwzględniać złożenie oświadczeń/zgód przez samych dorosłych uczestników (dotyczy osób dorosłych nieubezpieczonych), jak również powinna być uwzględniona możliwość oceny jakości świadczeń przez dorosłych uczestników programu. Warunkiem udziału w programie jest wykonanie badań początkowych (właściwe testy/pomiary w okresie do 6 tygodni poprzedzających cykl terapeutyczny). Wnioskodawca zaznaczył, że na podstawie wyników badań początkowych i potrzeb danego uczestnika zostanie wyznaczony indywidualny cel terapii. Cykl terapeutyczny będzie stanowiło 10 sesji (po ok. 60 min) z zastosowaniem zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu, które będą realizowane dwa razy w roku (czyli sześć razy w ciągu trwania programu). Opis interwencji uzupełniono o wskazanie wymagań względem zrobotyzowanych urządzeń do rehabilitacji chodu, a także o wskazanie przykładowych systemów, które mogą być w tym celu wykorzystywane. Działania organizacyjne i warunki realizacji PPZ dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych nie budzą zastrzeżeń. Wątpliwości budzą natomiast szacunki kosztów jednostkowych oraz kosztów rocznych realizacji programu, które rzutują na koszt całkowity. Maksymalny koszt udziału w programie jednego uczestnika z grupy docelowej skierowanego na cykl terapeutyczny ma wynosić 5 280 zł, a koszt całkowity 10 929 600 zł (dane z kosztów programu zaplanowanych na lata 2024 – 2026).

Główne argumenty decyzji:

- *potrzeba programów z zastosowaniem zrobotyzowanych urządzeń dla rehabilitacji osób z mózgowym porażeniem dziecięcym, które nie są finansowane ze środków publicznych;*
- *pozytywne efekty poprzednio prowadzonego programu i doświadczenie realizatora programu.*

Uwagi Rady:

- *Rada rozpatruje przedmiotowy wniosek jako nowy program polityki zdrowotnej;*
- *ze względu na zmianę populacji docelowej program wymagał ponownej oceny;*
- *konieczna jest aktualizacja harmonogramu i okresu realizacji programu oraz wprowadzenie zmian uwzględniających nową populację;*
- *potrzebna jest weryfikacji kosztów programu;*
- *konieczny jest ponowny wybór realizatora w związku z faktem, że jest to nowy program.*

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.431.30.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”; data ukończenia: maj 2025 r. 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., Raportu nr OT.441.57.2017 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Rozszerzenie dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie Województwa Mazowieckiego” oraz Raportu nr: OT.431.24.2023 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganej diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie Województwa Wielkopolskiego”.