



BP.401.10.2025.BW

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 24/2025
w dniu 9 czerwca 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:05.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Marcin Kołakowski
5. Tomasz Pasierski
6. Anna Socha-Banasiak
7. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady Przejrzystości nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Maciej Karaszewski

Członkowie Rady Przejrzystości nieobecni na posiedzeniu:

1. Roman Junik

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leków Imfinzi (durvalumabum) + Lynparza (olaparibum) w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumabum) w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Cibinqo (abrocitinibum) w ramach programu lekowego B.124 „Leczenie chorych z atopowym zapaleniem skóry (ICD-10: L20)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Edarabid (edaravone) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne.

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych Synacthen; Synacthen Depot (tetrakozaktyd) we wskazaniach:
 - padaczka lekooporna,
 - padaczka lekooporna pod postacią zespołu Westa,
 - padaczka lekooporna pod postacią zespołu Lennox-Gastauta,
 - zespół Kinsbourne'a, zespół Landaua Kleffnera.
7. Przygotowanie opinii w sprawie Profilaktyki Przewlekłej Obturacyjnej Choroby Płuc.
8. Przygotowanie opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Białobrzegi na lata 2026-2028”.
9. Przygotowanie opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania dysplazji stawów biodrowych w Powiecie Myślenickim na lata 2026 – 2030”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program upowszechniania umiejętności udzielania pierwszej pomocy w Powiecie Myślenickim na lata 2026-2030”.
11. Przygotowanie opinii dla substancji czynnej leflunomidum we wskazaniu: młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów - postać wielostawowa po niepowodzeniu terapii lub w przypadku nietolerancji metotreksatu.
12. Przygotowanie opinii dla substancji czynnej acidum folicum we wskazaniu: łuszczyca - u pacjentów leczonych metotreksatem.
13. Przygotowanie opinii dla substancji czynnych amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu: moczówka nerkopochodna.
14. Przygotowanie opinii dla substancji czynnej prednisonum we wskazaniach:
 - obturacyjne choroby płuc - w przypadkach innych niż określone w ChPL;
 - choroby autoimmunizacyjne - w przypadkach innych niż określone w ChPL;
 - stan po przeszczepie narządu, kończyny, tkanek, komórek lub szpiku.
15. Przygotowanie opinii dla substancji czynnych fenoteroli hydrobromidum + ipratropii bromidum we wskazaniach:
 - mukowiscydoza;
 - dysplazja oskrzelowo - płucna;
 - dyskineza rzęsek.
16. Przygotowanie opinii dla substancji czynnej ipratropii bromidum we wskazaniach:
 - mukowiscydoza;
 - dysplazja oskrzelowo - płucna;
 - dyskineza rzęsek.
17. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Pasierski zgłosił konflikt interesów dot. leków Imfinzi + Lynparza oraz Keytruda, w związku z czym Rada podjęła decyzję, że podczas głosowań w ww. zakresach jego głos będzie liczony jako wstrzymujący. Żaden w pozostałych członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów. Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował kluczowe dane z raportu dot. oceny leków Imfinzi i Lynparza, a projekty stanowisk Rady przedstawił Artur Bachta.

Na posiedzenie dołączył Maciej Karaszewski, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała i Artur Bachta.

Rada doprecyzowała treść uchwały dot. leku Imfinzi, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski, Aleksandra Zasada i Artur Bachta

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na konflikt interesów (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

W doprecyzowaniu treści stanowiska dot. leku Lynparza wypowiedzieli się: Artur Bachta, Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski i Aleksandra Zasada.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na konflikt interesów (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dot. oceny leku Keytruda (pembrolizumabum).

Rada przeprowadziła dyskusję, w której udział wzięli: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Aleksandra Zasada, a w doprecyzowaniu jego treści uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Aleksandra Zasada i Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na konflikt interesów (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji streścił raport dot. leku Cibinqo (abrocitinibum).

Rada przeprowadziła dyskusję, w której wypowiedzieli się: Małgorzata Bała, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

Małgorzata Bała przedstawiła projekt stanowiska, a w jego doprecyzowaniu uczestniczyli Tomasz Pasierski i Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. produktu leczniczego Edarabid (edaravone), a projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił kluczowe dane dot. produktów leczniczych Synacthen; Synacthen Depot (tetrakozaktyd).

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Marcin Kołakowski, Tomasz Pasierski i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Aleksandra Zasada, a w doprecyzowaniu treści uchwały wypowiedzieli się Tomasz Pasierski i Marcin Kołakowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji zaprezentował kluczowe informacje z raportu „Profilaktyka Przewlekłej Obturacyjnej Choroby Płuc”.

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

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu dot. profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji u młodzieży w gminie Białobrzegi.

Projekt opinii Rady przedstawił Maciej Karaszewski, a w jej doprecyzowaniu głos zabrali: Tomasz Pasierski, Marcin Kołakowski i Maciej Karaszewski.

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

Ad 9. Analitik Agencji streścił kluczowe informacje z raportu dot. programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania dysplazji stawów biodrowych w powiecie myślenickim.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak, a w jej doprecyzowaniu uczestniczyli Tomasz Pasierski i Anna Socha-Banasiak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 10. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. programu polityki zdrowotnej z zakresu udzielania pierwszej pomocy w powiecie myślenickim.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski, a w jej doprecyzowaniu wypowiedzieli się Tomasz Pasierski i Marcin Kołakowski.

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

Ad 11. Anna Czerniecka-Kubicka przedstawiła projekt opinii Rady dotyczący kontynuacji refundacji substancji czynnej leflunomidum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 12. Projekt opinii Rady dla substancji czynnej acidum folicum przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 13. Projekt opinii Rady dla substancji czynnych amiloridum + hydrochlorothiazidum przedstawiła Aleksandra Zasada.

Wobec braku innych głosów, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 14. Projekt opinii Rady dla substancji czynnej prednisonum przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 14 do protokołu).

Ad 15. Projekt opinii Rady dla substancji czynnych fenoteroli hydrobromidum + ipratropii bromidum przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Wobec braku głosów w dyskusji Rady, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 15 do protokołu).

Ad 16. Projekt opinii Rady dla substancji czynnej ipratropii bromidum przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Wobec braku głosów w dyskusji Rady, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 16 do protokołu).

Ad 17. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:22.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 67/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie oceny leku Imfinzi (durvalumabum)
w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych
na raka endometrium (ICD-10: C54)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Imfinzi (durvalumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 1 fiol. a 10 ml, GTIN: 05000456031493,*
 - Imfinzi (durvalumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 1 fiol. a 2,4 ml, GTIN: 05000456031486,*
- w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak endometrium, zwany również rakiem błony śluzowej trzonu macicy lub rakiem trzonu macicy, jest nowotworem złośliwym błony śluzowej wyściełającej macicę. W miarę rozwoju może zacząć naciekać pozostałe warstwy trzonu macicy. To jedno z najczęstszych rozpoznań w ginekologii onkologicznej. Zazwyczaj diagnozowany jest w wieku 50–70 lat, jednak coraz częściej występuje również u kobiet młodszych. Zachorowalność na ten nowotwór stale wzrasta, a w ciągu ostatnich 20 lat liczba chorych uległa podwojeniu. W przedmiotowym programie lekowym B.148 produkt leczniczy Imfinzi w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem może być stosowany w 1. linii leczenia osób dorosłych z pierwotnie zaawansowanym lub nawrotowym rakiem endometrium, którzy kwalifikują się do terapii systemowej, po którym następuje leczenie podtrzymujące: 1) produktem IMFINZI w monoterapii w raku endometrium z zaburzeniami w systemie naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (dMMR) 2) produktem IMFINZI w skojarzeniu z LYNPARZA w raku endometrium bez zaburzeń w systemie naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (pMMR).

Dowody naukowe

Dostępne jest obecnie jedno badanie dotyczące durwalumabu w skojarzeniu z chemioterapią z następowym leczeniem podtrzymującym w docelowej populacji chorych – badanie RCT DUO-E. Brak jest innych badań eksperymentalnych odnośnie skuteczności leczenia w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej. W analizowanej populacji pacjentek dMMR obserwowano mniejsze ryzyko zgonu oraz zwiększone prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie w ww. schematach. Jednak w przypadku populacji pacjentek pMMR nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w szansie uzyskania odpowiedzi na leczenie w schemacie DUR+OLA+CP w porównaniu do samej CP.

Problem ekonomiczny

W przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją durwalumabu i olaparybu w wariantcie uwzględniającym RSS, wydatki płatnika publicznego ponoszone w populacji docelowej wzrosną w stosunku do scenariusza istniejącego o [] zł (rok I) oraz [] zł (rok II). Koszt refundacji wnioskowanej technologii stanowi główną składową różniącą w porównanych scenariuszach.

Rekomendacje refundacyjne

Lek Imfinzi jest refundowany w 5 krajach UE (Belgia, Grecja, Niemcy – zgodnie z ChPL; Norwegia i Szwecja – w dMMR).

Główne argumenty decyzji

- Niedojrzałe dane dotyczące przeżycia całkowitego;
- W porównaniu pośrednim brak różnic w porównaniu z obecnie refundowanym nowoczesnym komparatorem;
- Negatywne opinie zagranicznych Agencji HTA;
- Brak refundacji w większości krajów europejskich.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.17.2025 Wniosek o objęcie refundacją leków: Imfinzi (durwalumab) Lynparza (olaparyb) w programie lekowym: B.148. Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”; data ukończenia: 29 maja 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AstraZeneca AB) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 68/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie oceny Lynparza (olaparibum)
w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych
na raka endometrium (ICD-10: C54)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Lynparza (olaparibum), tabl. powł., 100 mg, 56, tabl., kod GTIN: 05000456031325,
- Lynparza (olaparibum), tabl. powł., 150 mg, 56, tabl., kod GTIN: 05000456031318,

w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak endometrium, zwany również rakiem błony śluzowej trzonu macicy lub rakiem trzonu macicy, jest nowotworem złośliwym błony śluzowej wyściełającej macicę. W miarę rozwoju może zacząć naciekać pozostałe warstwy trzonu macicy. To jedno z najczęstszych rozpoznań w ginekologii onkologicznej. Zazwyczaj diagnozowany jest w wieku 50–70 lat, jednak coraz częściej występuje również u kobiet młodszych. Zachorowalność na ten nowotwór stale wzrasta, a w ciągu ostatnich 20 lat liczba chorych uległa podwojeniu. W przedmiotowym programie lekowym B.148 produkt leczniczy Imfinzi w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem może być stosowany w 1. linii leczenia osób dorosłych z pierwotnie zaawansowanym lub nawrotowym rakiem endometrium, którzy kwalifikują się do terapii systemowej, po którym następuje leczenie podtrzymujące: 1) produktem IMFINZI w monoterapii w raku endometrium z zaburzeniami w systemie naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (dMMR) 2) produktem IMFINZI w skojarzeniu z LYNPARZA w raku endometrium bez zaburzeń w systemie naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (pMMR).

Dowody naukowe

Dostępne jest obecnie jedno badanie dotyczące durwalumabu w skojarzeniu z chemioterapią z następowym leczeniem podtrzymującym w docelowej populacji chorych – badanie RCT DUO-E. Brak jest innych badań eksperymentalnych odnośnie skuteczności leczenia w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej. W analizowanej populacji pacjentek dMMR obserwowano mniejsze ryzyko zgonu oraz zwiększone prawdopodobieństwo uzyskania ogólnej odpowiedzi na leczenie w ww. schematach. Jednak w przypadku populacji pacjentek pMMR nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w szansie uzyskania odpowiedzi na leczenie w schemacie DUR+OLA+CP w porównaniu do samej CP.

Rekomendacje refundacyjne

Lek Lynparza nie jest refundowany w prawie wszystkich krajach UE we wnioskowanym wskazaniu.

Główne argumenty decyzji

- *Niedojrzałe dane dotyczące przeżycia całkowitego;*
- *Brak istotnych statystycznie różnic w odpowiedzi na leczenie w porównaniu do standardowej terapii w dostępnym badaniu w większej liczbie grupie pMMR;*
- *Technologia nieujęta w wytycznych postępowania klinicznego;*
- *Negatywne opinie zagranicznych Agencji HTA;*
- *Brak refundacji w większości krajów europejskich.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.17.2025 Wniosek o objęcie refundacją leków: Imfinzi (durwalumab) Lynparza (olaparyb) w programie lekowym: B.148. Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”; data ukończenia: 29 maja 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 69/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu
lekowego „B.148. Leczenie chorych na raka endometrium (ICD- 10:
C54)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 4 ml, GTIN: 05901549325126, w ramach programu lekowego B.148. „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD- 10: C54)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Keytruda jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z receptorem programowanej śmierci komórki 1 (PD-1) i blokuje jego interakcję z ligandami PD-L1 i PDL2. Receptor PD-1 jest negatywnym regulatorem aktywności limfocytów T i wykazano, że jest zaangażowany w kontrolowanie odpowiedzi immunologicznej limfocytów T. Produkt leczniczy Keytruda wzmacnia odpowiedź limfocytów T, w tym odpowiedź przeciwnowotworową, poprzez zahamowanie wiązania PD-1 z PD-L1 i PD-L2, które ulegają ekspresji na komórkach prezentujących antygen i mogą ulegać ekspresji na komórkach nowotworowych oraz innych komórkach w mikrośrodowisku guza.

Rak trzonu macicy (rak endometrium) to szósty z kolei najczęściej diagnozowany nowotwór złośliwy oraz najczęstszym nowotworem ginekologicznym w Europie oraz na świecie. W Polsce w 2015 roku nowotwór złośliwy trzonu macicy był czwartym najczęściej wykrywanym nowotworem złośliwym w populacji kobiet (po raku piersi, jelita grubego i płuc) – zarejestrowano 6 243 nowe przypadki, co stanowiło 7,6% wszystkich raków, z kolei liczba zgonów w wyniku tej choroby wynosiła 1 690 (3,8%). Według danych z Krajowego Rejestru Nowotworowych (KRN) w 2022 r. odnotowano 5 995 przypadków zachorowań oraz 1 755 zgonów wśród kobiet z powodu raka trzonu macicy (ICD-10: C54) w Polsce. W opracowaniu na podstawie danych epidemiologicznych zebranych przez Krajowy Rejestr Nowotworów (KRN) przedstawiono jednoroczną, 3-letnią, 5-letnią i 10-letnią chorobowość dla nowotworu trzonu macicy (ICD-10: C54).

Liczba kobiet żyjących z chorobą rozpoznaną w 2021 roku wynosiła 5 788, w ciągu poprzedzających 3 lat – 15 403, 5 lat – 24 606 i 10 lat – 44 746.

Pembrolizumab w skojarzeniu z karboplatiną i paklitaksellem w leczeniu pierwszego rzutu pierwotnie zaawansowanego lub nawrotowego raka endometrium u osób dorosłych, którzy kwalifikują się do leczenia układowego - uzyskał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu przez EMA 21.10.2024 r.

Produkt leczniczy Keytruda podlegał ocenie Agencji w 2024 r., we wskazaniu: „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”. Pembrolizumab miał być stosowany w monoterapii w leczeniu nawrotowego lub zaawansowanego raka endometrium z niestabilnością mikrosatelitarną wysokiego stopnia (MSI-H) lub z zaburzeniami mechanizmów naprawy uszkodzeń DNA o typie niedopasowania, uzyskując negatywne stanowisko Rady Przejrzystości oraz negatywną rekomendację Prezesa Agencji.

Pembrolizumab wielokrotnie podlegał ocenie Agencji w innych wskazaniach. Oceny te dotyczyły zasadności finansowania produktu leczniczego Keytruda w leczeniu raka obejmującego m.in.: nerki, piersi, jelito grube, przełyk, narządy głowy i szyi. Dodatkowo produkt leczniczy Keytruda był wielokrotnie oceniany w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych (RDTL).

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 19 marca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 r. (Dz. Urz. Min. Zdrow. 2025 r. poz. 129), obecnie finansowane ze środków publicznych w Polsce we wskazaniu ICD-10: C54 są:

- W ramach katalogu chemioterapii we wskazaniu oznaczonym kodem ICD-10: C54:
 - Karboplatyna, cisplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, doksorubicyna, epirubicyna, etopozyd, fluorouracyl, ifosfamid, paklitaksel, tamoksifen, winkrystyna, winorelbina, gemcytabina (w przypadku mięsaka gładkokomórkowego) oraz trastuzumab (i.v. w skojarzeniu z paklitaksellem i karboplatiną (u pacjentek z potwierdzonym histologicznie surowiczym rakiem endometrium, z nadekspresją białka HER2 3+ w badaniu IHC lub amplifikacją genu HER2 w badaniu FISH, ze stopniem zaawansowania klinicznego III lub IV wg klasyfikacji FIGO lub nawrotowym rakiem bez względu na pierwotny stopień zaawansowania, ze stopniem sprawności 0-2 wg ECOG).
- W ramach programu lekowego B.148 „Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)”:
 - W I linii leczenia systemowego:
 - Dostarlimab (Jemperli) – leczenie chorych z nawrotowym lub zaawansowanym rakiem endometrium o dowolnym typie histologicznym

z wykluczeniem mięsaka endometrialnego z dMMR/MSI-H, po leczeniu operacyjnym, niekwalifikujących się do leczenia operacyjnego lub u których doszło do progresji choroby po leczeniu neo-/adjuwantowym.

- *W kolejnej linii leczenia systemowego:*

Dostarlimab (Jemperli) oraz pembrolizumab (Keytruda): leczenie chorych z nawrotowym lub pierwotnie zaawansowanym rakiem endometrium o dowolnym typie histologicznym z wykluczeniem mięsaka endometrialnego z dMMR/MSI-H, u których doszło do progresji w trakcie lub po zakończeniu wcześniejszego schematu chemioterapii dwulekowej zawierającej platynę.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 1 pierwotne badanie z randomizacją NRG-GY018, porównujące skuteczność i bezpieczeństwo PEM podawanego w schemacie złożonym z CAP/PAC z PLC podawanym z CAR/PLC. Pierwszorzędowym punktem końcowym w badaniu było przeżycie wolne od progresji (PFS). W kohorcie dMMR (upośledzenie naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów) przy medianie obserwacji 12 mies. wiązało się z IS zmniejszeniem ryzyka progresji choroby lub zgonu o 70% (HR=0,30; 95%CI: 0,19; 0,48; $p<0,001$) (Eskander 2023), natomiast przy medianie obserwacji 19,2 mies. wiązała się z IS zmniejszeniem ryzyka progresji choroby lub zgonu o 65% (HR=0,35; 95%CI: 0,23; 0,52; $p<0,001$) (Keytruda EPAR Assessment Report 2024). W kohorcie pMMR (nowotwory z prawidłowo funkcjonującym systemem naprawy niesparowanych nukleotydów) przy medianie obserwacji 7,9 mies. wiązała się z IS zmniejszeniem ryzyka progresji choroby lub zgonu o 46% (HR=0,54; 95%CI: 0,41; 0,71; $p<0,001$) (Eskander 2023), natomiast przy medianie obserwacji 15,3 mies. wiązała się z IS zmniejszeniem ryzyka progresji choroby lub zgonu o 26% (HR=0,74; 95%CI: 0,60; 0,91; $p=0,002$) (Keytruda EPAR Assessment Report 2024).

W odniesieniu do kluczowego drugorzędowego punktu końcowego tj. oceny przeżycia całkowitego (OS), nie wykazano IS różnic między terapią PEM w skojarzeniu z CAR+PAC w porównaniu do leczenia CAR+PAC w analizowanych kohortach. Przy czym, mediana czasu przeżycia całkowitego nie została osiągnięta w żadnej z badanych grup w czasie analizy pośredniej w populacji dMMR a w podgrupie pMMR odpowiednio 28,0 mies. i 27,4 mies. w grupie pembrolizumabu i grupie kontrolnej (niedojrzałość danych).

Jednocześnie wyniki w zakresie PFS 2 wskazują, że mediana przeżycia bez progresji choroby po kolejnej linii leczenia w kohorcie dMMR wśród pacjentek z grupy PEM nie została osiągnięta a w grupie PLC, mediana PFS2 wyniosła 42,7 mies. (HR=0,34; 95%CI: 0,19; 0,59; $p<0,001$). W kohorcie pMMR mediana przeżycia bez progresji choroby po kolejnej linii leczenia wyniosła 28,0 mies.

w grupie badanej i 19,6 mies. w grupie kontrolnej. Ryzyko zgonu lub progresji choroby po kolejnej linii leczenia było istotnie statystycznie niższe o 28% w grupie PEM + CTH w porównaniu do grupy kontrolnej (HR=0,72; 95%CI: 0,55, 0,94; p=0,008).

W odniesieniu do oceny jakości życia w obu grupach leczonych odnotowano niewielkie pogorszenie wyników. Wykazano IS różnicę na korzyść PEM+CTH względem PLC+CTH w zakresie oceny jakości życia z wykorzystaniem kwestionariusza PROMIS-Fatigue. IS różnice na korzyść grupy kontrolnej względem PEM+CTH raportowano w odniesieniu do wyników kwestionariusza FACT-En-TOI. Przy czym, ze względu na brak odnalezienia wartości granicznych istotności klinicznej wyników dla powyższych kwestionariuszy (MID, minimum important difference), ocena istotności klinicznej pozostaje utrudniona.

Przedmiotowa analiza cechuje się ograniczeniami. Analizę kliniczną oparto na jednym RCT NRG-GY018. Przy czym nie odnaleziono badań rzeczywistej praktyki klinicznej. Kolejnym ograniczeniem analizy jest brak wyników skuteczności dla populacji ogólnej z badania NRG-GY018 w publikacji głównej (Eskander 2023). Należy zauważyć, że w badaniu NRG-GY018 kohorty pMMR i dMMR były oceniane osobno oraz niezależnie od siebie. Natomiast wyniki dotyczące skuteczności w populacji ogólnej raportowane w AKL stanowią wyniki analizy post hoc udostępnionej przez wnioskodawcę. Ponadto, wnioskodawca nie uwzględnił w analizie dodatkowych komparatorów: durwalumabu i dostarlimabu. Od kwietnia 2025 r. w ramach program B.148. w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem w populacji pacjentek z zidentyfikowaną obecnością upośledzenia naprawy nieprawidłowo sparowanych nukleotydów (dMMR) lub wysokiej niestabilności mikrosatelitarnej (MSI-H) potwierdzonej dostępny jest produkt Jemperli (dostarlimab).

W przeglądzie systematycznych Huang 2024, którego celem było zidentyfikowanie optymalnej terapii składającej się z inhibitorów punktu kontrolnego (ICI) w leczeniu zaawansowanego lub nawrotowego raka endometrium. W analizach nie odnotowano IS różnic pomiędzy schematami opartymi na pembrolizumabie, a schematami opartymi na dostarlimabie lub durwalumabie w populacji dMMR i pMMR. U pacjentek z rakiem endometrium ze statusem pMMR autorzy zalecają rozważenie stosowania schematów durwalumab+olaparib+chemioterapia lub pembrolizumab+chemioterapia.

W przeglądzie systematycznych Zhu 2024, który dotyczył porównania inhibitorów immunologicznych punktów kontrolnych u pacjentek z zaawansowanym rakiem endometrium, analizowano wyniki OS oraz PFS w populacji ogólnej, a także kohort pMMR/MMS oraz dMMR/MSI-H. W większości porównań, nie odnotowano IS różnic pomiędzy schematami opartymi na pembrolizumabie, a schematami opartymi na dostarlimabie lub durwalumabie w populacji dMMR i pMMR w zakresie OS i PFS, z wyjątkiem oceny PFS w populacji pMMR gdzie

odnotowano IS wyższy efekt PEM+CTH w porównaniu DUR+CTH (HR = 1,42 (95%CI: 1,01; 1,99)), przy czym wynik znajdował się blisko granicy IS.

Ponadto, porównanie z dostarlimabem i durwalumabem (porównanie pośrednie metodą meta-analizy sieciowej, NMA) zostało przedstawione przez wnioskodawcę na potrzeby AWA dla produktu leczniczego Imfinzi, durwalumab (AWA nr OT.423.1.17.2025). W ramach porównania PEM + CHEM względem DOS + CHEM oraz DUR + CHEM nie odnotowano IS różnic w zakresie oceny PFS w podgrupach dMMR oraz pMMR.

Częstotliwość występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych była IS wyższa w grupie PEM w porównaniu do grupy PLC. Wśród ciężkich zdarzeń niepożądanych, część z nich była powiązana ze stosowanym leczeniem. Ich ryzyko wystąpienia było istotnie statystycznie wyższe w grupie pembrolizumabu niż w grupie placebo.

W pierwotnej analizie skuteczności zdarzenia niepożądane prowadzące do zgonu zgłoszono łącznie u 10 (1,3%) pacjentek z badania NRG-GY018. Dla dłuższego czasu obserwacji (analiza ad hoc) odnotowano łącznie 14 (1,8%) zgonów wśród pacjentek biorących udział w badaniu NRG-GY018.

Wytyczne kliniczne

Według wytycznych NCCN 2025.v3 w pierwszej linii terapii systemowej raka endometrium w stadium zaawansowania III-IV, jako jeden z kilku preferowanych schematów, rekomenduje się chemioterapię karboplatyną i paklitakselem w skojarzeniu z pembrolizumabem (za wyjątkiem mięsakoraka). Wśród pozostałych zalecanych schematów terapii systemowych skojarzonych z chemioterapią wymienia się: dostarlimab (stadia zaawansowania III-IV), durwalumab (stadia zaawansowania III-IV, tylko pacjentki z dMMR), trastuzumab (stadia zaawansowania III-IV, pacjentki z HER2-dodatnim surowiczym rakiem macic lub mięsakorakiem macicy), bewacyzumab (stadia zaawansowania III-IV z mierzalną chorobą).

W wytycznych NCI 2025 jako opcje leczenia raka endometrium w stadium III, IV oraz raka nawrotowego wskazują: chirurgię, a następnie chemioterapię i radioterapię, terapię hormonalną, terapię biologiczną, immunoterapię oraz udział w badaniach klinicznych. Zaznaczono, że leczenie pacjentek z rakiem endometrium w stadium IV zależy od lokalizacji przerzutów i objawów związanych z lokalizacją choroby.

Pembrolizumab stosowany w skojarzeniu z chemioterapią został wymieniony w wytycznych wśród immunoterapii wykazujących aktywność i korzyści w leczeniu pacjentek z zaawansowanym stadium i nawrotowym rakiem endometrium (obok skojarzenia pembrolizumab + lenwatynib oraz dostarlimab + chemioterapia).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie PEM w skojarzeniu z ChT, a następnie w monoterapii w miejsce ChT jest [REDACTED]. Oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie z RSS wyniosła [REDACTED], natomiast w wariancie bez RSS 280 440 PLN/QALY. Oszacowana wartość w wariancie z RSS znajduje się [REDACTED] progu opłacalności, natomiast w wariancie bez RSS powyżej progu opłacalności. Największy wpływ na wzrost wartości ICUR ma przyjęcie [REDACTED]. Przyjęcie takiego założenia powoduje wzrost ICUR [REDACTED] w wariancie bez RSS.

Największy wpływ na spadek wartości ICUR ma scenariusz, w którym przyjęto [REDACTED]. W tym scenariuszu ICUR obniżył się o [REDACTED] w wariancie bez RSS.

Najważniejszymi ograniczeniami analizy są niepewności związane z modelowaniem OS oraz brak podziału na populacje dMMR i pMMR, co może istotnie wpływać na wysokość ICUR. Publikacje przedstawione w analizie konwergencji oraz projekty rekomendacji NICE i CDA wskazują, że uwzględnienie łącznej populacji może wpływać na wyniki analizy. W publikacjach przedstawionych w analizie konwergencji wyniki ICUR dla populacji pMMR są znacznie wyższe w porównaniu do wyników w populacji dMMR.

Prognozowana łączna liczba chorych stosujących produkt leczniczy Keytruda w wariancie podstawowym scenariusza nowego wynosi [REDACTED]. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w przypadku objęcia refundacją produktu leczniczego Keytruda w ramach proponowanego rozszerzenia programu lekowego nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. [REDACTED] w I roku oraz o ok. [REDACTED] w II roku refundacji [REDACTED]. W wariancie bez RSS nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. 59,59 mln zł w I roku oraz o ok. 187,93 mln zł w II roku refundacji.

W ramach ograniczeń analizy należy wskazać niepewności związane z oszacowaniem populacji docelowej. Oszacowania przeprowadzono kompilując dane pochodzące z wielu źródeł, w tym polskie i zagraniczne dane literaturowe (w przypadku braku danych polskich) oraz wyniki [REDACTED].

Ponadto należy zauważyć, że w analizie BIA wnioskodawcy nie uwzględniono faktu, iż od kwietnia 2025 r. w ramach programu B.148. w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem w I linii leczenia raka endometrium pacjentek z dMMR/MSI-H dostępny jest produkt Jemperli (dostarlimab). Ponadto, obecnie w Agencji oceniany jest durwalumab (produkt leczniczy Imfinzi), który w przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej również będzie dostępny

w ramach PL B.148 w populacji częściowo zgodnej z populacją docelową objętą niniejszym wnioskiem. Rozszerzenie dostępnych opcji terapeutycznych może spowodować zmiany w zakresie udziałów poszczególnych terapii stosowanych w I linii leczenia pierwotnie zaawansowanego lub nawrotowego raka endometrium, co przekładać się będzie na rzeczywiste wydatki NFZ.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono rekomendację G-BA 2025 (Niemcy) oraz 2 projekty rekomendacji, tj. brytyjskiej agencji NICE (NICE 2025) oraz kanadyjskiej CADTH (CADTH 2025).

Niemiecki G-BA uznał, że ze względu na brak badań, które porównywałyby pembrolizumab z terapiami wskazanymi przez G-BA jako technologie opcjonalne (dostarlimab/durwalumab) nie można wykazać dodatkowej korzyści wynikającej ze stosowania pembrolizumabu z karboplatiną i paklitakselem.

Agencja CADTH, w uzasadnieniu warunkowo pozytywnej rekomendacji, wskazała na korzystne wyniki w zakresie PFS. Zaznaczono również, iż wstępne dane sugerują również możliwe korzyści w zakresie przeżycia całkowitego, choć dane te nie są jeszcze dojrzałe. Niemniej jednak, brak danych porównawczych z innymi terapiami ogranicza pewność co do przewagi tej terapii. Dodatkowo, przy obecnej cenie, terapia nie jest opłacalna ekonomicznie i wymaga obniżki ceny.

Zgodnie z decyzją wstępną, NICE nie rekomenduje stosowania pembrolizumabu w tej kombinacji u dorosłych pacjentek z wcześniej nieleczonym pierwotnie zaawansowanym lub nawrotowym rakiem endometrium. W uzasadnieniu negatywnej rekomendacji NICE podaje, że stosowanie pembrolizumabu z karboplatiną i paklitakselem wydłuża czas do progresji choroby w porównaniu z samą chemioterapią. Przy czym, biorąc pod uwagę krótki okres obserwacji w badaniu, NICE ma wątpliwości co do wpływu terapii PEM + CHEM na całkowity czas przeżycia. Ponadto zidentyfikowano niepewności w przedłożonym modelu ekonomicznym. Komitet uznał, że analizy powinny być przeprowadzane oddzielnie dla podgrup dMMR i pMMR, a nie ogółem dla populacji określonej wnioskowanym wskazaniem, co m.in. wpływa na brak możliwości określenia poziomu efektywności kosztowej ocenianej terapii.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Keytruda w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem, w leczeniu pierwszego rzutu pierwotnego zaawansowanego lub nawrotowego raka endometrium u dorosłych pacjentek kwalifikujących się do leczenia ogólnoustrojowego jest finansowany w czterech krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji

- *Brak wykazanej przewagi nad obecnie refundowaną terapią z użyciem dostarlimabu;*
- *Analizę kliniczną oparto na jednym RCT;*
- *Brak badań rzeczywistej praktyki klinicznej;*
- *Łączna analiza danych naukowych pochodzących z dwóch populacji prawdopodobnie różniących się efektem klinicznym i efektywnością kosztową.*

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.423.1.16.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego: B.148. »Leczenie chorych na raka endometrium (ICD-10: C54)«”; data ukończenia: 30 maja 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. zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹.

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

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 70/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie oceny leku Cibinqo (abrocycytynib) w ramach programu
lekowego B.124 „Leczenie chorych z atopowym zapaleniem skóry
(ICD-10: L20)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Cibinqo (abrocitinibum), tabletki powlekane, 200 mg, 28 tabl., GTIN: 05415062384572;*
- *Cibinqo (abrocitinibum), tabletki powlekane, 100 mg, 28 tabl., GTIN: 05415062384565;*
- *Cibinqo (abrocitinibum), tabletki powlekane, 50 mg, 28 tabl., GTIN: 05415062384558;*

w ramach programu lekowego B.124 „Leczenie chorych z atopowym zapaleniem skóry (ICD-10: L20)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, jedynie w ciężkiej postaci AZS u młodzieży w wieku 12 do 17 lat, pod warunkiem obniżenia ceny do poziomu najtańszego aktywnego komparatora dostępnego w PL B.124.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Cibinqo (abrocycytynib - ABRO), który jest inhibitorem kinazy janusowej 1, w ramach programu lekowego B.124 „Leczenie chorych z atopowym zapaleniem skóry (ICD-10: L20)” w 2 populacjach docelowych:

- *młodzież w wieku 12-17 lat z umiarkowaną do ciężkiej postacią atopowego zapalenia skóry (AZS) (EASI≥16 pkt.),*
- *dorośli pacjenci z umiarkowaną postacią atopowego zapalenia skóry (EASI 16-20 pkt.).*

Obie populacje stosują miejscowo emolienty i kortykosteroidy, a leczenie ogólne lub fototerapia nie były u nich skuteczne oraz wystąpiło u nich niepowodzenie immunosupresyjnej terapii ogólnej (w przypadku młodzieży w wieku 12-17 lat) lub niepowodzenie leczenia cyklosporyną (w przypadku dorosłych pacjentów),

lub przeciwskazania do jej stosowania, które uniemożliwiają jej zastosowanie, lub wystąpiły działania niepożądane, które uniemożliwiają jej kontynuowanie.

ABRO podlegał wcześniejszej ocenie Agencji, we wskazaniu "do stosowania w leczeniu atopowego zapalenia skóry o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego u pacjentów dorosłych, którzy kwalifikują się do leczenia ogólnoustrojowego)". Uzyskał wtedy negatywną rekomendację Rady Przejrzystości (nr 118/2022 z dnia 5 grudnia 2022 roku), a następnie rekomendację pozytywną Prezesa Agencji dotyczącą objęcia refundacją w populacji chorych z ciężką postacią AZS, pod warunkiem obniżenia kosztów leczenia do poziomu generowanego przez najtańszy z komparatorów dostępnych w PL B.124 i pod warunkiem włączenia do istniejącego programu B.124 oraz rekomendację negatywną dla objęcia refundacją w populacji chorych z umiarkowaną postacią AZS.

ABRO jest aktualnie refundowany w populacji chorych dorosłych z ciężką postacią AZS w ramach PL B.124.

Problem zdrowotny

Atopowe zapalenie skóry (ICD-10: L20) jest zapalną, przewlekłą, nawrotową chorobą skóry, zwykle o początku we wczesnym dzieciństwie, które charakteryzuje się występowaniem typowych zmian – zaczerwienień, grudek, pęcherzyków, ściszających się ranek, które z czasem mogą zmieniać się w suchą, pogrubiłą skórę. Zmiany mogą pojawiać się na twarzy (także na owłosionej skórze głowy), płatkach usznych, dołach podkolanowych i łokciowych, a także po wewnętrznej stronie kończyn, na szyi, grzbietach rąk i stóp. Towarzyszy im świąd skóry zwykle nasilający się wieczorem i w nocy. Przebiegu atopowego zapalenia skóry nie można przewidzieć. U 40–60% dzieci objawy zanikają przed 5. rokiem życia, a u 60–90% do 15. roku życia. W wieku młodzieńczym objawy ustępują u około 20% chorych, a u około 60% są znacznie łagodniejsze.

W wytycznych postępowania zaleca się rozpoczęcie leczenia od zastosowania emolientów. W przypadku braku poprawy stosuje się następnie miejscowo GKS oraz miejscowo inhibitory kalcyneuryny i fototerapię. Przy dalszym braku efektu w sytuacji, gdy jest to możliwe zaleca się immunoterapię systemową (glikokortykosteroidy doustne, azatioprynę, cyklosporynę A, metotreksat, mykofenolan mofetylu) i ostatecznie leczenie biologiczne. Polskie wytyczne PTA/PTD z 2019 roku i najnowsze wytyczne europejskie EDF 2025 zalecają stosowanie leczenia systemowego, w tym biologicznego jedynie w postaci ciężkiej. Jednocześnie EDF 2025 zaleca leczenie biologiczne ABRO, DUPI, UPA u pacjentów kwalifikujących się do leczenia systemowego.

Dostępne technologie alternatywne zarówno w populacji młodzieży w wieku 12-17 lat jak i dla dorosłych pacjentów z umiarkowaną postacią atopowego zapalenia skóry, którzy spełniają kryteria włączenia do PL obejmują terapię

standardową (SoC), zawierającą emolienty, miejscowe kortykosteroidy i/lub inhibitory kalcyneuryny. W przypadku ciężkiej postaci leki dostępne w ramach programu lekowego B.124 stosowane u dzieci i młodzieży w wieku 12-17 lat obejmują dupilumab, upadacytynib oraz tralokinumab.

Dowody naukowe

W przeglądzie systematycznym przeprowadzonym przez Wnioskodawcę w ramach oceny skuteczności i bezpieczeństwa ABRO+SoC vs PLC+SoC w populacji pacjentów dorosłych z umiarkowaną postacią AZS oraz w populacji pacjentów w wieku 12-17 r.ż. z umiarkowaną i ciężką postacią AZS uwzględniono badania z randomizacją. Ze względu na brak odnalezienia badań porównujących terapię wnioskowaną z leczeniem aktywnym, konieczne było przeprowadzenie porównania pośredniego. Wszystkie badania z randomizacją oceniono jako obciążone małym ryzykiem błędu systematycznego. Wnioskodawca nie dostarczył dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa leku w subpopulacjach pacjentów z umiarkowaną postacią AZS i subpopulacji pacjentów z ciężką postacią AZS. Wnioskowanie na temat skuteczności w subpopulacjach objętych wnioskiem jest obarczone niepewnością, gdyż badania obejmowały populacje szersze niż wnioskowana - łącznie osoby z umiarkowaną lub ciężką postacią AZS, co stanowi główne ograniczenie analizy klinicznej, a dodatkowo konieczne było przeprowadzenie porównania pośredniego z jednej subpopulacji na podstawie badań różniących się stosowaniem leczenia dodatkowego.

U dorosłych z umiarkowaną postacią AZS w oparciu o badanie obejmujące pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postaci AZS w porównaniu ABRO 200 mg vs PLC+SoC w okresie 16 tygodni zaobserwowano:

- poprawę wskaźnika IGA (OR=6,11, 95%CI: 3,39-11,00; NNT=3, 95%CI: 3-4),
- częstszą odpowiedź EASI-75 (OR=5,55, 95%CI: 3,44-8,97; NNT=3, 95%CI: 3-4),
- poprawę wskaźnika DLQI (OR=3,83, 95%CI: 2,28-6,45; NNT=4, 95%CI: 3-7).

Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie punktów końcowych dotyczących profilu bezpieczeństwa, takich jak: zgony ogółem, przerwanie leczenia/ udziału w badaniu, AE prowadzące do przerwania leczenia, ciężkie AE, poważne AE.

U młodzieży w wieku 12-17 r.ż. z umiarkowaną postacią AZS w oparciu o badanie obejmujące pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postaci AZS w porównaniu ABRO 200 mg vs PLC+SoC w okresie 12 tygodni zaobserwowano:

- poprawę wskaźnika IGA (OR=2,65, 95%CI: 1,42-4,95; NNT=5, 95%CI: 3-13),
- częstszą odpowiedź EASI-75 (OR=3,63, 95%CI: 1,97-6,70; NNT=4, 95%CI: 3-7),
- poprawę wskaźnika CDLQI-6 (OR=2,27, 95%CI: 1,23-4,19; NNT=6, 95%CI: 4-22).

Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie punktów końcowych dotyczących profilu bezpieczeństwa takich jak: zgony ogółem, przerwanie leczenia/ udziału w badaniu, AE prowadzące do przerwania leczenia, ciężkie AE, poważne AE.

U młodzieży w wieku 12-17 r.ż. z ciężką postacią AZS nie zidentyfikowano badań klinicznych porównujących ABRO+SoC z leczeniem aktywnym, które jest dostępne w ramach wnioskowanego programu lekowego. W porównaniu pośrednim uwzględniono porównania ABRO 200 mg+/-SoC vs:

- upadacytinib (UPA)+SoC
- dupilumab (DUPI)
- tralokinumab (TRALO).

W metanalizie sieciowej nie zaobserwowano istotnych statystycznie różnic w prawdopodobieństwie uzyskania odpowiedzi IGA (0,1) oraz EASI-75 oraz jakości życia (CDLQI-6, CDLQI) i pozostałych analizowanych punktów końcowych dla wszystkich analizowanych porównań z leczeniem aktywnym. Nie było także różnic w zakresie punktów końcowych dotyczących profilu bezpieczeństwa, m.in. zgonów, zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia, zdarzeń niepożądanych ogółem, ciężkich zdarzeń niepożądanych oraz opryszczki. Wnioskowanie odnośnie stosowania dawki 100 mg jest analogiczne, w kontekście zarówno skuteczności, jak i bezpieczeństwa terapii.

W długoterminowej ocenie efektywności ABRO u pacjentów z umiarkowaną lub ciężką postacią AZS w horyzoncie obserwacji wynoszącym 96 tyg. odnotowano względną stabilność i utrzymywanie się efektu terapeutycznego, w zakresie takich punktów końcowych, jak IGA (0,1) oraz odpowiedź EASI-75.

W analizie post-hoc z badania JADE EXTEND uwzględniającej postać AZS w okresie 112 tygodni zaobserwowano odpowiedź EASI-75 u 86% osób z umiarkowaną oraz 88% z postacią ciężką AZS, a w przypadku IGA 0/1 było to odpowiednio 64% oraz 55% pacjentów.

Zgodnie z ChPL, najczęściej zgłaszane działania niepożądane obejmowały m.in. nudności (15,1%), ból głowy (7,9%), trądzik (4,8%), opryszczkę zwykłą (4,2%).

ChPL wskazuje także, że „Abrocycytynib należy stosować tylko wtedy, gdy nie są dostępne odpowiednie alternatywne metody leczenia u pacjentów: w wieku 65 lat i starszych, z miażdżycą układu sercowo-naczyniowego lub innymi czynnikami ryzyka chorób układu sercowo-naczyniowego w wywiadzie (takimi jak palenie tytoniu obecnie lub długotrwale w przeszłości), z czynnikami ryzyka nowotworu złośliwego (np. nowotwór złośliwy obecnie lub w wywiadzie)”.

Zgodnie z opinią EMA dotyczącą leków z grupy inhibitorów JAK (czyli m.in. ABRO), długoterminowe bezpieczeństwo stosowania leków z tej grupy pozostaje niepewne, a dostępne dane są ograniczone. Istnieją jednak dane wskazujące na występowanie incydentów zakrzepowo-zatorowych. Wśród skutków

ubocznych wymienia się pólpasiec, w tym oczny (często) oraz zapalenie płuc (niezbyt często). Badania wskazują na zależność między dawką leku a ryzykiem poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych (MACE). Produkt leczniczy jest przedmiotem planu zarządzania ryzykiem (ang. Risk Management Plan, RMP). Dodatkowo, podmiot odpowiedzialny jest zobowiązany udostępnić wszystkim osobom należącym do fachowego personelu medycznego, które będą przepisywać lub wydawać abrocytynib, jak również pacjentom i opiekunom pakiety edukacyjne obejmujące informacje związane ze stosowaniem leku u pacjentów w wieku 65 i więcej lat, działaniami niepożądanymi w zakresie zakażeń, ŻCHZZ, nowotworów złośliwych, ciężkich niepożądanych zdarzeń sercowo-naczyniowych, toksyczność dla zarodka i płodu po ekspozycji in utero. Na podstawie analizy bezpieczeństwa można stwierdzić, że respektując zapisy ChPL oraz ograniczenia związane ze stosowaniem ABRO w grupach pacjentów szczególnie narażonych na występowanie zdarzeń niepożądanych, profil bezpieczeństwa ocenianego leku jest akceptowalny.

Problem ekonomiczny

W analizie użyteczności kosztów w ramach której porównano zastosowanie ABRO + SoC względem SoC w horyzoncie dożywotnim dla populacji młodzieży w wieku 12-17 lat i dorosłych z umiarkowaną postacią AZS oszacowany ICUR z perspektywy płatnika publicznego dla porównania ABRO 200 mg+SoC vs SoC wyniósł:

- 423 413 PLN/QALY w wariancie bez RSS oraz [REDACTED] w populacji młodzieży w wieku 12-17 lat z umiarkowanym AZS.
- 324 195 PLN/QALY w wariancie bez RSS oraz [REDACTED] w populacji dorosłych z umiarkowanym AZS.

W przypadku wariantów bez RSS wyniki znajdują się powyżej progu opłacalności, zaś po uwzględnieniu RSS znajdują się poniżej progu opłacalności.

Dostępne dane w zakresie odpowiedzi długoterminowej nie pozwalają określić jak będzie wyglądał przebieg zanikania odpowiedzi na leczenie ABRO w horyzoncie dożywotnim, a głównym ograniczeniem CUA jest ograniczenie pochodzące z analizy klinicznej - dane na temat skuteczności ABRO pochodzą z badań dla szerszej populacji niż oceniana tj. populacji z postacią umiarkowaną i ciężką AZS łącznie, co w pewnym stopniu ogranicza wnioskowanie.

[REDACTED]

W analizie minimalizacji kosztów oraz kosztów konsekwencji w horyzoncie 3-letnim, w której porównano ABRO + SoC z DUPI + SoC, TRALO + SoC oraz UPA + SoC w populacji młodzieży w wieku 12-17 lat z ciężką postacią AZS, ABRO 200 mg i ABRO 100 mg w wariantcie bez RSS jest odpowiednio:

- *względem DUPI 7,9 tys. PLN droższy i 23,0 tys. PLN tańszy,*
- *względem TRALO 22,5 tys. PLN droższy i 8,4 tys. PLN tańszy,*
- *względem UPA 56,4 tys. PLN droższy i 25,4 tys. PLN droższy.*

W związku z brakiem wykazania wyższości ABRO nad DUPI, TRALO oraz UPA w opinii analityków Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji. Wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Cibinqo, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania wynosi:

Zgodnie z wynikami analizy podstawowej w perspektywie płatnika publicznego, wydanie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego Cibinqo spowoduje wzrost wydatków łącznie w populacji docelowej w wariantcie bez RSS o 9,18 mln PLN w I roku oraz 32,09 mln PLN w II roku refundacji. W

Głównym ograniczeniem analizy wnioskodawcy jest niepewność związana liczebnością populacji docelowej, która będzie stosować ABRO z umiarkowaną postacią AZS oraz populacji z młodzieży z ciężkim AZS w okresie wykraczającym poza 2-letni horyzont czasowy analizy.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 2 rekomendacje pozytywne (HAS 2022 oraz 2024), 3 rekomendacje pozytywne warunkowo (CADTH 2022, NCPE 2021, NICE 2022) oraz 2 rekomendacje negatywne (HAS 2022, NCPE 2021). Odnaleziono również dwie niemieckie rekomendacje G-BA z 2022 r. oraz 2024 r., w której wskazuje się na znaczą dodatkową korzyść abrocytynibu względem dupilumabu we wskazaniu leczenie AZS o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego w populacji dorosłych, którzy są kandydatami do terapii systemowej oraz brak dodatkowej korzyści względem dupilumabu we wskazaniu leczenie AZS o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego w populacji młodzieży od 12 r.ż., którzy są kandydatami do terapii systemowej. Odnalezione rekomendacje dotyczą szerszej populacji niż oceniania tj. populacji z AZS o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego w populacji dorosłych i młodzieży od 12 r.ż., którzy są kandydatami do terapii systemowej.

Główne argumenty decyzji

- Wytyczne polskie PTA/PTD 2019 i wytyczne europejskie EDF 2025 zalecają stosowanie leczenia systemowego, w tym biologicznego w ciężkiej postaci AZS.
- ABRO było podobnie skuteczne jak inne produkty lecznicze obecnie refundowane w ciężkiej postaci AZS, stąd koszty leczenia nie powinny być większe niż najtańszej dostępnej opcji aktywnego leczenia.

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.423.1.12.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Cibinqo (abrocytynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych z atopowym zapaleniem skóry (ICD-10: L20)«”; data ukończenia: 28 maja 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art 35 ust. 4a – 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)²⁾.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Pfizer Polska Sp. z o.o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 71/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu
leczniczego Edarabid (edarawon) we wskazaniu: stwardnienie
zanikowe boczne

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Edarabid (edaravone), iniekcje 30 mg/20 ml, we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Edarabid we wskazaniu stwardnienie zanikowe boczne (ang. amyotrophic lateral sclerosis, ALS) podlegał wcześniejszej ocenie Agencji w ramach importu docelowego w 2021 r., kiedy to uzyskał negatywną ocenę Rady Przejrzystości oraz Prezesa Agencji. Rada Przejrzystości wskazała na nieprzekonujące dowody odnośnie skuteczności leku oraz brak akceptacji EMA.

Dowody naukowe

W okresie od ostatniej oceny nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na skuteczność terapii. Lek nadal nie jest zarejestrowany przez EMA i nie znajduje miejsca w wytycznych towarzystw naukowych.

Problem ekonomiczny

Dodatkowo koszt stosowania edarawonu u połowy pacjentów obecnie stosujących riluzol wynosiłby ok. 20,7 mln zł rocznie, natomiast w przypadku wszystkich pacjentów około 41,5 mln zł.

Główne argumenty decyzji

- *Brak dobrych dowodów naukowych na skuteczność terapii.*
- *Potencjalnie duży koszt terapii.*
- *Dostępność dla polskich pacjentów do riluzolu - leku skuteczniejszego.*

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.4211.7.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.2.2021) „Edarabid (edarawon) we wskazaniu: stwardnienie zanikowe boczne”; data ukończenia: 4 czerwca 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 72/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktów leczniczych Synacthen, Synacthen Depot (tetrakozaktyd) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna pod postacią zespołu Westa, padaczka lekooporna pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, zespół Kinsbourne'a, zespół Landaua Kleffnera

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów leczniczych Synacthen; Synacthen Depot (tetrakozaktyd), we wskazaniach:

- *padaczka lekooporna,*
- *padaczka lekooporna pod postacią zespołu Westa,*
- *padaczka lekooporna pod postacią zespołu Lennox-Gastauta,*
- *zespół Kinsbourne'a,*
- *zespół Landaua Kleffnera.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsza ocena wynika z aktualizacji danych zawartych w opracowaniu Agencji WS.4211.1.2024, na podstawie którego wydane zostały pozytywne Stanowiska Rady Przejrzystości nr 21/2024 oraz pozytywna Rekomendacja Prezesa nr 22/2024 (nr w BIP AOTMiT: 6/2024) w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego substancji czynnej tetrakozaktyd (Synacthen, Synacthen Depot) w ww. wskazaniach. Konieczność ponownej oceny wynika ze wzrostu ceny produktu leczniczego Synacthen Depot. Dotychczas wnioski o refundację dotyczyły produktu leczniczego Synacthen Depot, Tetracosactidum, zawiesina do wstrzykiwań, ampułki, 1 mg/ml podmiotu odpowiedzialnego Alfasigma, sprowadzanego po cenie 933,58 PLN za 10 ampułek. Jest to szacunkowa cena netto sprzedaży produktu do apteki, zawierająca marżę hurtową (dane nt. ceny produktu leczniczego pochodzą z raportu z ZSMOPL z listopada 2024 r.). Obecnie, z uwagi na zmianę podmiotu odpowiedzialnego, do Ministra Zdrowia wpłynęły wnioski o refundację tego samego produktu leczniczego, ale innego podmiotu odpowiedzialnego: Atnahs, którego cena wynosi 2 400 - 2 500 PLN za 1 ampułkę.

Dowody naukowe

Od ostatniego opracowania nr: WS.4211.1.2024, które zostało przygotowane na początku 2024 r., nie zostały opublikowane nowe wytyczne kliniczne dla większości z ocenianych wskazań. Odnaleziono jedynie nowe wytyczne dla Zespołu Westa i ich treść jest zgodna z zaleceniami z rekomendacji opisanych w raporcie z 2024 r. – hormon adrenokortykotropowy (ACTH, w tym jego syntetyczna forma tetrakozaktyd) stanowi jedną z zalecanych terapii w leczeniu pacjentów z Zespołem Westa.

W ramach aktualizacyjnego przeglądu systematycznego do raportu włączono: przegląd systematyczny z meta-analizą Korinthenberg 2024, w którym oceniano skuteczność i bezpieczeństwo kortykosteroidów i ACTH u pacjentów z padaczką o etiologii innej niż zespół Westa; przegląd systematyczny z meta-analizą Gao 2024, w którym porównywano kortykosteroidy i ACTH u pacjentów z zespołem Westa; oraz retrospektywne, jednośrodkowe badanie kohortowe Hirata 2024, w którym oceniano skuteczności bardzo niskich dawek ACTH w terapii Zespołu Westa u pacjentów z Zespołem Downa.

Na podstawie wyników przeglądu systematycznego Korinthenberg 2024, nie można sformułować silnych zaleceń dotyczących stosowania ocenianych technologii. Istnieją jednak pewne dowody niskiego poziomu, że ACTH i kortykosteroidy są skuteczne w lekoopornych padaczkach dziecięcych innych niż zespół Westa. W wynikach metaanalizy, 60% pacjentów zareagowało zmniejszeniem liczby napadów o >50%, (25% była wolna od napadów). Odpowiedź EEG była podobna. U połowy pacjentów mogła nastąpić poprawa funkcji psychologicznych. W okresie do kilku miesięcy po zaprzestaniu terapii u co najmniej połowy pacjentów, u których wystąpiła odpowiedź na leczenie, doszło do nawrotu. W związku z tym, długotrwałe złagodzenie napadów wystąpiło u 30%-40% pacjentów. Zaobserwowaliśmy niewielkie, klinicznie nieistotne różnice w skuteczności między ACTH a kortykosteroidami.

W ramach przeglądu systematycznego Gao 2024 wykazano, że ACTH jest lepszy od prednizolonu w poprawie odpowiedzi elektro-klinicznej w 14 dniu, ale nie ma wystarczających dowodów na kliniczną przewagę ACTH lub prednizolonu w innych krótkoterminowych ocenianych punktach końcowych. Nie ma również wystarczających dowodów klinicznych, aby wykazać przewagę ACTH lub prednizolonu pod względem profilu bezpieczeństwa. ACTH może mieć przewagę względem prednizolonu pod względem długo-okresowej kontroli objawów Zespołu Westa.

W badaniu Hirata 2024 terapię ACTH zastosowano łącznie u 27 spośród 30 pacjentów. Mediana czasu między diagnozą i rozpoczęciem terapii ACTH wynosiła 1,4 miesiąca (IQR: 1,0 do 2,6 miesiąca). Spośród 27 pacjentów, którzy otrzymali terapię ACTH, napady drgawkowe ustąpiły u 16 (59,3 %) chorych.

Średni czas pomiędzy rozpoczęciem terapii ACTH a ustąpieniem napadów drgawkowych wynosił 9 ± 8 dni. Nawrót napadów drgawkowych wystąpił u 2 z 16 (12,5%) pacjentów, u których uzyskano odpowiedź. Pozostałych 14 pacjentów było wolnych od napadów w całym okresie obserwacji. Wśród pacjentów, u których nie uzyskano odpowiedzi po terapii ACTH, u sześciu z 11 (54,5%) uzyskano ją za pomocą innych metod leczenia, które obejmowały: wigabatrynę u 2 pacjentów, hormon uwalniający tyreotropinę u 2 pacjentów i hormon uwalniający tyreotropinę u 2 pacjentów. W dostępnym okresie obserwacji u tych pacjentów nie nastąpił nawrót drgawek. Długoterminowe wyniki leczenia napadów różniły się między osobami reagującymi i niereagującymi na terapię ACTH. Podczas ostatniej wizyty 1 z 16 (6,3%) pacjentów, u których wystąpiła odpowiedź na leczenie ACTH, miał napady drgawkowe, podczas gdy u 5 z 11 (45,5%) pacjentów, u których nie wystąpiła odpowiedź na leczenie, napady występowały często. Całkowita dawka syntetycznego ACTH wynosiła od 0,19 do 0,65 mg/kg (od 7,6 do 26 IU/kg). Osoby niereagujące miały tendencję do otrzymywania niższej całkowitej dawki ACTH niż osoby reagujące ($p = 0,055$). Wszystkim osobom niereagującym podawano całkowitą dawkę ACTH mniejszą niż 0,4 mg/kg (16 IU/kg). Przy tej i niższych dawkach, więcej osób nie odpowiadało na leczenie niż odpowiadało. Terapię ACTH przerwano u jednego pacjenta, u którego wystąpiła infekcja bakteryjna (3,3%).

Problem ekonomiczny

W roku 2024 w ramach importu docelowego dla populacji docelowej sprowadzono: 335 ampułek preparatu Synacthen Depot – cena za 10 ampułek 933,58 PLN oraz 90 ampułek preparatu Synacthen – cena za ampułkę 54,87 PLN. Wydatki płatnika za import docelowy ocenianych technologii lekowych w roku 2024 wynosiły: Synacthen Depot – 31 274,93 PLN oraz Synacthen - 3 010,72 PLN. Zgodnie z wynikami przeprowadzonych oszacowań, w związku z wskazaną zmianą ceny preparatu Synacthen Depot, w przypadku sprowadzenia takiej samej liczby ampułek preparatu jak w roku 2024, wydatki płatnika wzrosną o: 772 725 PLN (cena za ampułkę 2 400 PLN), 806 225 PLN (cena za ampułkę 2 500 PLN).

Główne argumenty decyzji

- Niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Choroby rzadkie;
- Międzynarodowe wytyczne kliniczne;
- Zaktualizowane dowody naukowe nie zmieniają poprzedniego wnioskowania 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 dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.10.2025 (Aneks do opracowania nr: WS.4211.1.2024) „Synacthen, Synacthen Depot (tetrakozaktyd) we wskazaniach: padaczka lekooporna, padaczka lekooporna pod postacią zespołu Westa, padaczka lekooporna pod postacią zespołu Lennox-Gastaut, zespół Kinsbourne’a, zespół Landaua Kleffnera; data ukończenia: 05.06.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 97/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań
przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz
warunków realizacji tych programów, dotyczących Profilaktyki
Przewlekłej Obturacyjnej Choroby Płuc

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie w ramach programów polityki zdrowotnej:

- 1. szkoleń dla pracodawców, w ramach których przekazywane będą zalecane metody zapobiegania i minimalizacji wpływu środowiska pracy na ryzyko występowania POChP u pracowników,*
- 2. działań informacyjno-edukacyjnych dla świadczeniobiorców, ze szczególnym uwzględnieniem: szkodliwości palenia tytoniu, szkodliwości pyłów zawieszonych oraz bezpośrednich skutków zdrowotnych POChP,*
- 3. lekarskich wizyt diagnostycznych nakierowanych na identyfikację osób z grupy wysokiego ryzyka POChP,*
- 4. interwencji antynikotynowych,*
- 5. spirometrii u osób z grup ryzyka, przejawiających objawy choroby.*

Uzasadnienie

Problem zdrowotny

W 2023 r. udzielono w POZ 505 578 porad z rozpoznaniem „Inna przewlekła zaporowa choroba płuc (J44)” (BASiW 2025). Natomiast w AOS udzielono 443 252 porad z rozpoznaniem „Inna przewlekła zaporowa choroba płuc (J44)” (BASiW 2025). Głównym czynnikiem ryzyka wpływającym na współczynnik zgonów z powodu POChP w 2021 roku było palenie tytoniu (9,78/100 tys.), które przyczyniło się do 50,71% zgonów z powodu omawianej choroby.

Aktualne postępowanie w ocenianym zagadnieniu

Z dniem 1 października 2022 roku w placówkach Podstawowej Opieki Zdrowotnej została wprowadzona opieka koordynowana m.in. w zakresie diagnostyki i leczenia astmy oskrzelowej oraz przewlekłej choroby obturacyjnej płuc (MZ 2022). Zgodnie z informacjami zamieszczonymi na stronie NFZ świadczenia opieki koordynowanej są dostępne prawie w każdym powiecie w kraju (NFZ 2025). Dodatkowo od dnia 1 września 2022 r. w ramach świadczeń gwarantowanych

z zakresu programów zdrowotnych obowiązuje znowelizowany Program profilaktyki chorób odtytoniowych, w tym przewlekłej obturacyjnej choroby płuc (POChP). Program zdrowotny między innymi nastawiony jest na poradnictwo antynikotynowe nie tylko użytkowników tytoniu, ale również nowatorskich wyrobów tytoniowych oraz papierosów elektronicznych (MZ 2022).

Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne

We wszystkich odnalezionych wytycznych nie zaleca się prowadzenia badań przesiewowych w kierunku POChP w populacji osób bezobjawowych. Dostępne rekomendacje ukierunkowane są na diagnostykę POChP wśród pacjentów, u których występują objawy sugerujące obecność choroby oraz obciążonych czynnikami ryzyka. Wskazuje się, że palenie wyrobów tytoniowych stanowi główny czynnik ryzyka POChP. Wśród innych modyfikowalnych czynników ryzyka wymienia się narażenie na zanieczyszczenie powietrza oraz ekspozycję zawodową na toksyczne lotne związki organiczne. Większość wytycznych wskazuje na potrzebę realizacji szczepień ochronnych wśród pacjentów.

Dowody naukowe

Badania przesiewowe · Ogólna czułość i swoistość wykrywania POChP za pomocą spirometrii wynosi odpowiednio 73,4% [95%CI: (0,560; 0,857)] i 89% [95%CI: (0,795; 0,944)] dla przyjętego punktu odcięcia FEV1/FEV6 <0,73 oraz 78,4% [95%CI: (0,623; 0,888)] i 87,1% [95%CI: (0,739; 0,942)] dla punktu odcięcia FEV1/FEV6 <0,77 (Choi 2022). · Kwestionariusz wykrywający POChP odznacza się czułością na poziomie 66% [95%CI: (0,63; 0,69)] oraz swoistością na poziomie 86% [95%CI: (0,85; 0,86)] (Gu 2021); **Czynniki ryzyka** · Osoby narażone na dym tytoniowy w postaci tzw. „biernego palenia” mają istotną statystycznie wyższą szansę wystąpienia POChP – OR=2,25 [95%CI: (1,40; 3,62)] (Chen 2023). · Pracownicy budowlani narażeni na zanieczyszczenie powietrza w miejscu pracy mają istotnie statystycznie zwiększoną szansę na wystąpienie POChP – OR=2,42 [95%CI: (1,62; 3,59)] (Narayanasamy 2024). · Wykazano, że obecność nieobturacyjnego przewlekłego zapalenia oskrzeli istotnie statystycznie zwiększa zarówno ryzyko (o 44%), jak i szansę wystąpienia POChP – RR=1,44 [95%CI: (1,13; 1,85)] (Wu 2022). **Interwencje antynikotynowe** · Zaprzymanie palenia przez pacjentów z POChP istotnie statystycznie poprawia funkcje płuc oraz wyniki wskaźników duszności. **Aktywność fizyczna** · Nie wykazano istotnego statystycznie wpływu wykonywania treningu mięśni oddechowych przez pacjentów ze stabilną POChP na poprawę wyniku 6MWT, poziomu duszności (zarówno podczas wysiłku, jak i w życiu codziennym) oraz jakości życia (Huang 2024). · Interwencje składające się z ćwiczeń fizycznych ogółem wykazały istotny statystycznie pozytywny wpływ na siłę mięśni obwodowych – SMD=3,48 [95%CI: (1,81; 5,15)]; wynik testu 6MWD – MD=12,76m [95%CI: (11,69; 13,82)] oraz maksymalną wydolność fizyczną mierzoną jako maksymalny pobór tlenu (VO2peak) – MD=1,82 ml/kg/min [95%CI: (0,62; 3,02)], wśród pacjentów

ze stabilną POChP (Li 2021). Edukacja · Przegląd 38 RCT dotyczących interwencji edukacyjnych wśród specjalistów ochrony zdrowia mających kontakt z pacjentami chorymi na POChP w ośrodkach podstawowej opieki zdrowotnej, wykazał ograniczone dowody na efektywność takich interwencji (Cross 2022). Bezpieczeństwo · Analizowane wytyczne towarzystw naukowych nie wskazywały informacji dotyczących bezpieczeństwa prowadzenia działań profilaktycznych z zakresu POChP. · Około połowa pacjentów z naddiagnozowaniem jest błędnie leczona na POChP, co wiąże się z potencjalnymi skutkami ubocznymi i ogromną nieefektywnością alokacji zasobów (Fiore 2023). · Badanie spirometryczne ogółem wykazało wskaźnik wyników fałszywie dodatnich w zakresie 0-28,6% oraz wskaźnik wyników fałszywie ujemnych w zakresie 5,4-67,4% (Choi 2022).

Główny argument decyzji

- Brak argumentów za zmianą wcześniejszego stanowiska Rady.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem z uwzględnieniem raportu w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów nr: OT.434.6.2025 „Profilaktyka Przewlekłej Obturacyjnej Choroby Płuc”; data ukończenia czerwiec 2025.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 98/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
o projekcie „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki
i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży
w Gminie Białobrzegi na lata 2026-2028”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Białobrzegi na lata 2026-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Oceniany projekt PPZ odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim są zaburzenia depresyjne występujące w populacji dzieci i młodzieży.

W ramach programu planowane jest przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej skierowanej do populacji ogólnej, szkoleń on-line, edukacji zdrowotnej (psychoedukacji), a także przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku zaburzeń depresyjnych i terapii zaburzeń nastroju wśród młodzieży.

Kampania informacyjno-edukacyjna będzie miała na celu rozpowszechnienie informacji o PPZ i podniesienie odniesienie świadomości populacji ogólnej nt. profilaktyki zaburzeń nastroju

Pozostałe działania realizowane w ramach programu skierowane będą do następujących populacji: w zakresie działań edukacyjnych – do młodzieży w wieku 11-15 lat uczęszczających do szkół podstawowych oraz do ich rodziców/opiekunów prawnych; w zakresie szkoleń – do kadry pedagogicznej (nauczycieli klas IV-VIII szkół podstawowych zlokalizowanych na terenie gminy oraz specjalistów zatrudnionych w tych placówkach: pedagogów, psychologów i logopedów); w zakresie badań przesiewowych i terapii zaburzeń nastroju – do nastolatków w wieku 11-18 lat. W budżecie programu zaplanowano, że w 2026 r. przebadanych zostanie 200 osób z ww. grupy wiekowej, natomiast w latach 2027-2028 po 330 osób rocznie. Zaplanowane przez wnioskodawcę badania przesiewowe w kierunku zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży w wieku 11-18 lat, a także zastosowanie kwestionariusza CDI 2 znajdują odzwierciedlenie w większości odnalezionych wytycznych. Terapią zaburzeń nastroju objętych ma natomiast zostać w sumie 60 osób z ww. populacji docelowej (zgodnie z budżetem PPZ – 20 osób rocznie).

Uczestnicy, którzy w badaniach przesiewowych uzyskają wynik wskazujący na obecność zaburzeń depresyjnych, włączeni zostaną do interwencji terapeutycznej, obejmującej cykl 10 cotygodniowych, 50-minutowych spotkań z psychoterapeutą dzieci i młodzieży. Zgodnie z treścią projektu, w ramach programu możliwe będzie przeprowadzenie następujących terapii: indywidualna terapia behawioralno-poznawcza (CBT), psychoterapia indywidualna (IPT-A), terapia rodzinna oparta na więzi (ABFT), terapia interpersonalna, psychoterapia psychodynamiczna, terapia dialektyczno-behawioralna oraz poznawcza, psychoterapia psychoanalityczna, psychoterapia systemowa, terapia humanistyczno-doświadczeniowa oraz psychoterapia integracyjna. W odniesieniu do pozostałych populacji docelowych oszacowano, że działaniami edukacyjnymi objętych zostanie ok. 550 rodziców/opiekunów prawnych, natomiast szkoleniami dla kadry pedagogicznej – 100 osób. Przedstawiono prawidłowe kryteria włączenia i wykluczenia z udziału w programie dla poszczególnych grup odbiorców działań przewidzianych w ramach programu. W ramach planowanych interwencji przewidziane jest przeprowadzenie badania poziomu wiedzy uczestników przy zastosowaniu opracowanego przez realizatora pre- i post-testu. Do projektu załączono wzory testów.

Ocena jakości świadczeń w programie dokonana zostanie na podstawie corocznej analizy ankiet satysfakcji skierowanych do uczestników programu (osobno dla nastolatków i osobno dla kadry pedagogicznej) oraz na podstawie bieżącej analizy pisemnych uwag uczestników dot. realizacji programu. Do projektu załączono wzory ww. Ankiet.

Koszt całkowity programu oszacowany został na 152 700 zł. W ramach kosztów jednostkowych uwzględniono: 1 500 zł/szkolenie – koszt działań szkoleniowych z zakresu zaburzeń depresyjnych dla kadry pedagogicznej (szkolenie online, w sumie zaplanowano 3 szkolenia), 400 zł/spotkanie – koszt edukacji zdrowotnej (psychoedukacji) rodziców/opiekunów prawnych dzieci (spotkanie online, w sumie zaplanowano 6 spotkań), 30 zł/os. – koszt badania przesiewowego oraz 2 000/os. – koszt cyklu terapii zaburzeń nastroju (10 spotkań). Wskazano również, że edukacja zdrowotna (psychoedukacja) nastolatków jak również działania informacyjne oraz monitorowanie i ewaluacja przeprowadzone zostaną bezkosztowo.

Program ma zostać sfinansowany ze środków własnych Gminy Białobrzegi, Urząd Gminy Białobrzegi w latach 2026-2028 będzie starał się o dofinansowanie 40% kosztów działań realizowanych w programie przez Podkarpacki Oddział NFZ na podstawie art. 48d ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Realizatorem programu będzie podmiot, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.

Uwagi Rady:

- konieczne jest przedstawienie uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej celu głównego;
- należy zaproponować cel dotyczący badań przesiewowych, czy też działań edukacyjnych skierowanych do nastolatków w ramach godzin wychowawczych;
- należy rozważyć przeprowadzenie pomiaru poziomu wiedzy w populacji nastolatków w wieku 11-15 lat, wśród których zaplanowano przeprowadzenie działań edukacyjnych;
- należy uzupełnić projekt o wzory pre- i post- testów służących do oceny poziomu wiedzy uczestników terapii zaburzeń nastroju;
- należy wyjaśnić nieścisłości dotyczące realizacji badań przesiewowych – opisano je w dwóch miejscach projektu (jako osobną interwencję i w opisie sesji terapeutycznych w ramach wizyty początkowej);
- należy uszczegółowić opis etapów realizacji PPZ w odniesieniu do działań realizowanych w ramach programu.

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. 146z późn. zm), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.34.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Białobrzegi na lata 2026-2028”; data ukończenia: czerwiec 2025 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 99/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
o projekcie „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania dysplazji
stawów biodrowych w Powiecie Myślenickim na lata 2026 - 2030”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania dysplazji stawów biodrowych w Powiecie Myślenickim na lata 2026 – 2030”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie:

Oceniany projekt PPZ dotyczy profilaktyki następstw dysplazji stawu biodrowego (ang. Developmental Dysplasia of the Hippi, DDH) u dzieci. Wnioskodawca przedstawił informacje z ww. zakresu, odnosząc się do definicji, objawów, metod diagnostycznych, klasyfikacji Grafa oraz czynników ryzyka. Zaznaczono, że podstawą wczesnej oceny stawów biodrowych, obok badania klinicznego, jest badanie ultrasonograficzne (USG) dziecięcego stawu biodrowego, pozwalające w sposób nieinwazyjny i jednoznaczny rozpoznać wadę i monitorować postępy leczenia. 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 oraz ogólnopolskie. Przystawiono schemat i warunki realizacji PPZ. Głównym założeniem projektu programu jest: „utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy teoretycznej i praktycznej (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy teoretycznej i praktycznej w zakresie zasad opieki nad niemowlęciem sprzyjających prawidłowemu rozwojowi stawów biodrowych u co najmniej 70% rodziców uczestniczących w programie”. Cel główny i szczegółowy nie zawierają uzasadnienia dla podanych wartości docelowych.

W PPZ prawidłowo opisano kryteria włączenia i wyłączenia. Populację docelową będą stanowiły niemowlęta od 4 tygodnia do 4 miesiąca życia (ok. 1150 dzieci rocznie, co stanowi 100% populacji docelowej) oraz przyszli rodzice, uczestniczący w zajęciach szkół rodzenia na terenie Powiatu Myślenickiego (ok. 400 osób rocznie). Interwencje będą polegały na przesiewowym badaniu preluksacyjnym niemowląt (badanie fizykalne w kierunku rozwojowej dysplazji stawu biodrowego, badanie USG stawów biodrowych poprzez ocenę stanu

rozwoju stawu biodrowego w skali Grafa) oraz działaniach edukacyjnych prowadzonych w szkołach rodzenia znajdujących się na terenie powiatu myślenickiego: część teoretyczna z zakresu prawidłowej pielęgnacji noworodków i niemowląt oraz część praktyczna z wykorzystaniem fantomu niemowlęcia. PPZ został zaplanowany na lata 2026-2030 oraz będzie finansowany przez Powiat Myślenicki. Realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert. Przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite PPZ. W ramach etapów PPZ nie uwzględniono akcji informacyjno-promocyjnej zaplanowanej w projekcie. Dwa wskaźniki przedstawione w ramach monitorowania odnoszą się bardziej do ewaluacji. Jeden wskaźnik uwzględniony w ramach ewaluacji odnosi się bardziej do monitorowania.

Badania w kierunku dysplazji stawów biodrowych są zgodne z rekomendacjami klinicznymi, które mają jednak charakter niejednoznaczny: USG jest zalecane m.in. w wieku: od 4 tygodni (ACR 2019), 6 tygodni (ASUM 2019) do 4 miesięcy (ACR 2019) lub <6 miesięcy (RACGP 2021), jeśli u dziecka występują czynniki ryzyka; 6 tygodni dla wszystkich dzieci z położeniem miednicowym (RACGP 2021); od 4 tygodni do 4 miesięcy z niejednoznacznym badaniem fizykalnym (ACR 2019); <4 miesięcy z fizycznymi objawami DDH podczas wstępnego obrazowania (ACR 2019); <6 miesięcy ze rozpoznaniem DDH podczas nieoperacyjnego obrazowania nadzorowanego za pomocą szelek odwodzących (ACR 2019); <6 tygodni, z pozytywnym badaniem niestabilności (AAOS 2022); u niemowląt z klinicznie zwichniętym biodrem powinno być przeprowadzone natychmiast (ASUM 2019), przed wypisem z miejsca urodzenia lub w każdym przypadku w ciągu pierwszego tygodnia życia, u niemowląt, u których podczas badania klinicznego występuje „objaw uderzenia” (Agostiniani 2020). Wśród czynników ryzyka wystąpienia DDH wyróżnia się: płeć żeńską, położenie miednicowe, asymetryczne fałdy skórne, anomalie formowania czaszki lub stopy (RACGP 2021, ASUM 2019, AAOS 2015). Biorąc pod uwagę powyższe, populacja docelowa wskazana przez wnioskodawcę częściowo znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach.

Warto zaznaczyć, że świadczenia dotyczące profilaktyki DDH stanowią część gwarantowanych świadczeń lekarza podstawowej opieki zdrowotnej (POZ), kontraktowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Świadczenia te określone są w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz.U. 2023 poz. 1427 z późn. zm), dotyczących warunków realizacji porad patronażowych oraz badań bilansowych, w tym badań przesiewowych. Warto jednak zaznaczyć, że wnioskodawca podkreśla, że „w powiecie myślenickim umowę z NFZ na wykonywanie badań preluksacyjnych posiada tylko jeden podmiot leczniczy, zlokalizowany kilkanaście kilometrów poza Myślenicami. Co więcej, czas oczekiwania na realizację tego świadczenia wynosi obecnie

ok. miesiąca, co może spowodować brak możliwości przeprowadzenia badania w rekomendowanym zazwyczaj okresie od 4 do 6 tygodnia życia dziecka”.

Główne argumenty decyzji:

- Pomimo finansowania świadczeń dotyczących profilaktyki DDH przez płatnika publicznego, dostęp do ww. badań w powiecie myślenickim jest znacznie utrudniony.*
- Proponowane interwencje są skuteczne w opisanym wskazaniu i są zgodne z aktualną praktyką i wytycznymi postępowania.*
- Efekty wprowadzenia programu mogą być znaczne zarówno dla pojedynczych beneficjentów i systemu ochrony zdrowia, poprzez zmniejszenie wydatków na skomplikowane procedury medyczne.*

Uwagi Rady:

- W celu głównym oraz szczegółowym należy podać uzasadnienie dla podanych wartości docelowych.*
- W ramach etapów PPZ nie uwzględniono akcji informacyjno-promocyjnej, która została zaplanowana w projekcie, co wymaga korekty.*
- Weryfikacja poprawności wskaźników monitorowania i ewaluacji.*

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 późn. zm), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.36.2025 „Program profilaktyki i wczesnego wykrywania dysplazji stawów biodrowych w Powiecie Myślenickim na lata 2026-2030”; data ukończenia: czerwiec 2025 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki następstw dysplazji stawu biodrowego – wspólne podstawy oceny” z lipca 2021 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 100/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
o projekcie „Program upowszechniania umiejętności udzielania
pierwszej pomocy w Powiecie Myślenickim na lata 2026-2030”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program upowszechniania umiejętności udzielania pierwszej pomocy w Powiecie Myślenickim na lata 2026-2030”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny Rady był projekt programu polityki zdrowotnej, zaplanowany do realizacji przez powiat myślenicki. Program zakłada przeprowadzenie teoretycznych i praktycznych szkoleń z zakresu udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej. Szkoleniami zostaną objęci uczniowie klas V szkół podstawowych z terenu powiatu. Program ma być realizowany w latach 2026-2030. Planowane koszty całkowite zostały określone na 167 000 zł.

Wnioskodawca właściwie zdiagnozował problem zdrowotny opierając się na dostępnych danych np.: aktualnej Mapy Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) na lata 2022-2026 w kontekście chorób układu krążenia oraz aktualnej bibliografii. Cele i mierniki zostały dobrane właściwie, jednakże wymagają pewnego doszczegółowienia co zaznaczono w uwagach Rady. Także interwencja oraz populacja docelowa zostały dobrane właściwie. Umiejętność udzielania pierwszej pomocy powinna być nabywana jak najwcześniej a liczne przykłady wskazują, że nawet bardzo małe dzieci mogą skutecznie pomagać właściwie oceniając sytuację i podejmując skuteczne działania. Wnioskodawca zaproponował monitorowanie programu oraz właściwą jego ewaluację. Zaproponowany budżet oraz sposób realizacji programu także nie wzbudzają wątpliwości i przemawiają za pozytywną oceną z drobnymi uwagami, które mogą być szybko uwzględnione, aby program został zrealizowany terminowo i zgodnie z obowiązującymi wymaganiami.

Podstawowe argumenty decyzji:

- *Program skonstruowany poprawnie z budżetem właściwym do jego przeprowadzenia;*

- *Umiejętność postępowania przy udzielaniu pierwszej pomocy powinna być jak najbardziej upowszechniona co przełoży się na poprawę naszego bezpieczeństwa;*
- *W sytuacjach krytycznych takie umiejętności mogą uratować nie tylko zdrowie, ale i życie, dlatego należy wspierać takie inicjatywy.*

Uwagi Rady:

- *Forma sprawdzenia umiejętności praktycznych nie została konkretnie określona.*
- *Wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych tak dla celu głównego jak i celów szczegółowych*
- *W opisie etapów nie uwzględniono akcji informacyjnej.*

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 późn. zm), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.37.2025 „Program upowszechniania umiejętności udzielania pierwszej pomocy w Powiecie Myślenickim na lata 2026-2030”; data ukończenia: czerwiec 2025 r. oraz Aneksu „Programy polityki zdrowotnej dotyczące edukacji oraz innych działań w zakresie udzielania pierwszej pomocy przedmedycznej – wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2021 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 101/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną leflunomidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Lekniczego tj. młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną leflunomidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów – postać wielostawowa po niepowodzeniu terapii lub w przypadku nietolerancji metotreksatu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej opinii jest aktualizacja danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz istnienia nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania substancji czynnej leflunomidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów – postać wielostawowa po niepowodzeniu terapii lub w przypadku nietolerancji metotreksatu. Wniosek był już czterokrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (opinie Rady Przejrzystości nr 109/2022 z dnia 11 lipca 2022 roku; nr 255/2019 z dnia 12 sierpnia 2019 roku; nr 275/2016 z dnia 13 września 2016 roku; nr 270/2014 z dnia 15 września 2014 roku). Każdorazowo była to opinia pozytywna.

Dowody naukowe

Rozpatrywane dowody naukowe dotyczące stosowania metotreksatu u dzieci i młodzieży z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów skupiły się na uznaniu aktualności danych z badania porównawczego metotreksatu z leflunomidem (Silverman E i współpracownicy). W porównaniu z leflunomidem, leczenie doustnym metotreksatem (0,5 mg/kg/tydzień): może zwiększyć liczbę dzieci i młodzieży, u których uzyskano odpowiedź na leczenie, może mieć niewielki lub żaden wpływ na średnią funkcję i średnią ogólną ocenę samopoczucia uczestników, może mieć niewielki lub żaden wpływ na liczbę poważnych zdarzeń niepożądanych i na liczbę wycofań z powodu zdarzeń

niepożądanym. Nie znaleziono żadnych badań oceniających liczbę dzieci i młodzieży z klinicznie nieaktywną chorobą lub średnim bólem.

Według rekomendacji Australian Living Guideline 2025 u dzieci i młodzieży z młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów wymagającym ogólnoustrojowego leku przeciwreumatycznego modyfikującego przebieg choroby, należy rozważyć stosowanie metotreksatu jako terapii początkowej w dawce 15 mg/m² raz w tygodniu (maksymalna dawka 25 mg na tydzień). Metotreksat jest preferowany w stosunku do leflunomidu, chyba że istnieją szczególne przeciwwskazania do stosowania metotreksatu.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;*
- *Pozytywne rekomendacje kliniczne.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 102/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
acidum folicum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego tj. łuszczycy - u pacjentów leczonych
metotreksatem

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną acidum folicum we wskazaniach pozarejestacyjnych: łuszczycy - u pacjentów leczonych metotreksatem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej opinii jest aktualizacja danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz istnienia nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania kwasu foliowego we wskazaniu - łuszczycy, u pacjentów leczonych metotreksatem. Wniosek był już trzykrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (opinie Rady Przejrzystości nr 108/2022 z dnia 11 lipca 2022 roku; nr 254/2019 z dnia 12 sierpnia 2019 roku; nr 274/2016 z dnia 13 września 2016 roku). Każdorazowo była to opinia pozytywna.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych dowodów naukowych, które wskazywałyby na konieczność zmiany poprzednich stanowisk Rady. Suplementacja kwasem foliowym podczas terapii z zastosowaniem metotreksatu (MTX) stanowi w dalszym ciągu standard leczenia w postępowaniu klinicznym dla łuszczycy. Zaleca się suplementację kwasem foliowym, aby zapobiec niepożądanym skutkom metotreksatu związane ze śluzówką i układem pokarmowym. Odnalezione wytyczne kliniczne, tj. europejskie EuroGuiDerm z 2024 r. rekomendują stosowanie kwasu foliowego u pacjentów z łuszczycą leczonych MTX. Instrukcja stosowania dotyczy 5 mg kwasu foliowego raz w tygodniu 24 godziny po MTX.

Główne argumenty decyzji

- *Brak dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;*
- *Pozytywne rekomendacje kliniczne.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 103/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
amiloridum + hydrochlorothiazidum w zakresie wskazań do
stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż
określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. moczówka
nerkopochodna

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne amiloridum + hydrochlorothiazidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: moczówka nerkopochodna.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadność refundacji leków zawierających substancje czynne amiloryd + hydrochlorotiazyd w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. moczówka nerkopochodna, była przedmiotem oceny Rady Przejrzystości kilkakrotnie. W latach 2016, 2019 i 2022 Rada wydała pozytywne opinie w ww. zakresie (nr 260/2019, 283/2016 i 114/2022), wskazując, iż dowody niskiej jakości (badania retrospektywne, serie przypadków) oraz utrwalona praktyka kliniczna potwierdzają, że w początkowej fazie choroby należy wdrożyć systematyczne leczenie za pomocą leków tiazydowych w połączeniu z amilorydem, gdyż daje to najskuteczniejsze zmniejszenie objętości moczu i zachowanie potasu w surowicy z minimalnymi skutkami ubocznymi.

Dowody naukowe

Od czasu ostatniej oceny zostały opublikowane rekomendacje (Levtchenko 2024), w których zaleca się u niemowląt i dzieci z objawami moczówki nerkopochodnej rozpoczęcie leczenia od diuretyków tiazydowych i inhibitorów syntezy prostaglandyn oraz dodanie amilorydu do tiazydów u pacjentów z hipokaliemią wywołaną przez tiazydy.

Brak nowych danych w zakresie skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa terapii z użyciem amilorydu z hydrochlorotiazydem.

Główne argumenty decyzji

- *aktualne wytyczne kliniczne,*
- *utrwalona praktyka kliniczna,*
- *brak danych naukowych uzasadniających zmianę poprzedniej decyzji Rady.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 104/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
prednisonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

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

- *obturacyjne choroby płuc - w przypadkach innych niż określone w ChPL;*
- *choroby autoimmunizacyjne - w przypadkach innych niż określone w ChPL;*
- *stan po przeszczepie narządu, kończyny, tkanek, komórek lub szpiku.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej opinii jest aktualizacja danych w zakresie istnienia nowych wytycznych praktyki klinicznej oraz istnienia nowych dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania prednisonum we wskazaniach: obturacyjne choroby płuc, choroby autoimmunizacyjne, stan po przeszczepie narządu. Wniosek był już kilkakrotnie oceniany przez Radę Przejrzystości (ostatnie opinie Rady Przejrzystości nr 115/2022 z dnia 18 lipca 2022 roku; nr 263/2019 z dnia 19 sierpnia 2019 roku; nr 286/2016 z dnia 19 września 2016 roku). Każdorazowo była to opinia pozytywna.

Dowody naukowe

Odnalezione wytyczne kliniczne, tj. ACR 2023 (American College of Rheumatology) przedstawiają oparte na dowodach zalecenia dotyczące leczenia śródmiąższowej choroby płuc (ILD) u dorosłych z układowymi autoimmunologicznymi chorobami reumatycznymi (SARD). Silne zalecenia były przeciwko stosowaniu glikokortykosteroidów (GKS) w twardzinie układowej w pierwszej linii leczenia.

W wytycznych Global Initiative for Chronic Obstructive Lung Disease 2025 wskazano, że ogólnoustrojowe GKS w zaostrzeniach POChP skracają czas

rekonwalescencji i poprawiają funkcję płuc. Poprawiają również natlenienie, zmniejszają ryzyko wczesnego nawrotu, niepowodzenia leczenia i skracają długość hospitalizacji. Zalecany jest równoważnik dawki 40 mg prednisonum na dobę przez 5 dni. Wskazano również, że prospektywne badania nad długoterminowymi efektami doustnych GKS w stabilnej POChP są ograniczone. Dlatego też, podczas gdy doustne GKS odgrywają rolę w ostrym leczeniu zaostrzeń, nie odgrywają żadnej roli w przewlekłym codziennym leczeniu POChP z powodu braku korzyści w porównaniu z wysokim wskaźnikiem powikłań ogólnoustrojowych.

Ponadto, jedno badanie obserwacyjne sugeruje, że dłuższe cykle doustnych kortykosteroidów w zaostrzeniach POChP są związane ze zwiększonym ryzykiem zapalenia płuc i zgonu. Terapia doustnym prednizolonem jest równie skuteczna jak podawanie dożylne. Podwójnie zaślepienie, kontrolowane placebo RCT (STARR2) terapii prednizolonem kierowanej na podstawie liczby eozynofiliów we krwi podczas ostrego zaostrzenia POChP wykazało, że ta strategia nie była gorsza od standardowej opieki, w tym ogólnoustrojowego leczenia prednizolonem (30 mg na dobę przez 14 dni).

Wytyczne z 2022 r. zatwierdzone przez American College of Clinical Pharmacy, American Society of Transplantation, and the International Society for Heart and Lung Transplantation potwierdzają zastosowanie metyloprednizolonu w postaci dożylnej i doustnego prednizonu jako najczęściej stosowanych kortykosteroidów w zapobieganiu i leczeniu odrzucenia przeszczepów.

Główne argumenty decyzji

- Brak dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;
- Pozytywne rekomendacje kliniczne.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 105/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne fenoteroli hydrobromidum + ipratropii bromidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne fenoteroli hydrobromidum + ipratropii bromidum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- mukowiscydoza;
- dysplazja oskrzelowo - płucna;
- dyskineza rzęsek.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności dalszego finansowania leków zawierających substancje czynne – fenoterol i bromek ipratropium we wskazaniach pozarejestacyjnych. W poprzednich opiniach z lat: 2016 (284/2026), 2019 (261/2019) oraz 2022 (116/2022) Rada Przejrzystości uznała finansowanie fenoterolu i bromku ipratropium w wymienionych wyżej wskazaniach za zasadne.

Dowody naukowe

Przy aktualnym przeglądzie nie odnaleziono nowych publikacji naukowych ani wytycznych klinicznych, które mogłyby stanowić podstawę do zmiany opinii Rady Przejrzystości w zakresie refundacji leków zawierających fenoterol oraz bromek ipratropium w omawianych wskazaniach.

Główne argumenty decyzji

- Utrwalona praktyka kliniczna;
- Brak danych naukowych, które byłyby podstawą do zmiany poprzedniej decyzji Rady Przejrzystości.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 106/2025 z dnia 9 czerwca 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję
czynną ipratropii bromidum w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych
niż określone w Charakterystyce Produktu Lekczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną ipratropii bromidum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- mukowiscydoza;
- dysplazja oskrzelowo - płucna;
- dyskineza rzęsek.

Problem decyzyjny

Przedmiotem wniosku jest ocena zasadności dalszego finansowania leków zawierających substancję czynną – bromek ipratropium we wskazaniach pozarejestacyjnych. W poprzednich opiniach z lat: 2016 (285/2026), 2019 (262/2019) oraz 2022 (117/2022) Rada Przejrzystości uznała finansowanie bromku ipratropium w wymienionych wyżej wskazaniach za zasadne.

Dowody naukowe

Przy aktualnym przeglądzie nie odnaleziono nowych publikacji naukowych ani wytycznych klinicznych, które mogłyby stanowić podstawę do zmiany opinii Rady Przejrzystości w zakresie refundacji leków zawierających bromek ipratropium w omawianych wskazaniach.

Główne argumenty decyzji

- Brak danych naukowych, które byłyby podstawą do zmiany poprzedniej decyzji Rady Przejrzystości.
- Utrwalona praktyka kliniczna.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).