



BP.401.15.2025.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 28/2025
w dniu 7 lipca 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Artur Bachta
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Paweł Grzesiewski
5. Maciej Karaszewski
6. Elżbieta Lanc
7. Tomasz Pasierski
8. Jacek Rubik
9. Zbigniew Siudak

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu:

1. Katarzyna Galas

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ryeqo (relugolixum + estradiolum + norethisterone acetate) we wskazaniu: objawowe leczenie endometriozy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Arginine 2000 AA Supplement we wskazaniach:
 - deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC);
 - lizynuryczna nietolerancja białka;
 - zespół niedoboru kreatyny.

4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Kompleksowa rehabilitacja dziecka z niepełnosprawnościami z terenu gminy Godów”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zaburzeń depresyjnych u dzieci i młodzieży z województwa mazowieckiego”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestrowanych dla substancji czynnej etanerceptum we wskazaniu: leczenie obwodowej postaci SpA w ramach programu lekowego B.82.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zgłosił konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) przyjęła proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował kluczowe dane z raportu dot. oceny leku Ryeqo.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Andrzej Dąbrowski i Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski i Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji streścił raport dot. Arginine 2000 AA Supplement.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu dot. kompleksowej rehabilitacji dziecka z niepełnosprawnością z terenu gminy Godów.

Głos zabrał Andrzej Dąbrowski.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski, a w jej doprecyzowaniu udział wzięli: Maciej Karaszewski i Paweł Grzesiewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił kluczowe kwestie z raportu dot. profilaktyki zaburzeń depresyjnych u dzieci i młodzieży z województwa mazowieckiego.

W dyskusji udział wzięli Andrzej Dąbrowski i Maciej Karaszewski.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc, a w jej doprecyzowaniu uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Elżbieta Lanc i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu dot. regionalnego programu zdrowotnego w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Anna Czerniecka-Kubicka i Maciej Karaszewski.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W doprecyzowaniu treści uchwały uczestniczyli: Anna Czerniecka-Kubicka, Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Artur Bachta przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej etanercept, po czym głos w dyskusji zabrali: Andrzej Dąbrowski, Artur Bachta i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:37.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 81/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku
w sprawie oceny leku Ryeqo (relugolixum + estradiolum +
norethisterone acetate) we wskazaniu dot. objawowego leczenia
endometriozy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ryeqo (relugolixum + estradiolum + norethisterone acetate), tabl. powł., 40 mg + 1 mg + 0,5 mg, 28 tabl., GTIN: 05997001377949, we wskazaniu: objawowe leczenie endometriozy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%.

Rada Przejrzystości uważa, że ze względu na dużą niepewność w oszacowaniu populacji należy wprowadzić dodatkowy RSS

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTMiT, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTMiT w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego: Ryeqo, relugolixum + estradiolum + norethisterone acetate, tabl. powł., 40 mg + 1 mg + 0,5 mg, 28 tabl., GTIN: 05997001377949, we wskazaniu: objawowe leczenie endometriozy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie.

Problem zdrowotny

Endometrioza jest chorobą narządów płciowych kobiety charakteryzującą się obecnością komórek błony śluzowej trzonu macicy (endometrium) poza jamą macicy. Komórki te przypominają budowę komórki znajdujące się wewnątrz jamy macicy i wykazują aktywność wydzielniczą. Reagują one na zmiany hormonalne zachodzące w cyklu miesięcznym, czego następstwem jest przewlekła reakcja zapalna. W procesie tym dochodzi do wewnętrznych krwawień, rozwoju

bolesnych guzków, zapalenia, tworzenia się blizn i zrostów oraz zmiany stosunków anatomicznych narządów w miednicy mniejszej.

Aktualnie brakuje rzetelnych informacji na temat epidemiologii endometriozy w Polsce. Szacowana częstość endometriozy w krajach rozwiniętych sugeruje, że choroba ta dotyka 6 do 10% populacji kobiet w wieku rozrodczym. Najdokładniej opracowane dane z ostatnich lat pochodzą z Francji, gdzie endometriozę rozpoznawano u co 10 kobiety w wieku rozrodczym. Przy założeniu, że w Polsce w 2022 roku mieszkało około 10 milionów kobiet w wieku rozrodczym, endometrioza może dotyczyć około 1 miliona. Efektywność leczenia zarówno farmakologicznego, jak i zabiegowego jest ograniczona, a w ciągu 4–5 lat u około 40% kobiet dochodzi do nawrotu choroby.

Alternatywne technologie medyczne

W analizowanym wskazaniu, komparatorem są preparaty agonistów lub antagonistów GnRH oraz leczenie operacyjne.

Dowody naukowe

Dowody naukowe na temat skuteczności i bezpieczeństwa zastosowania skojarzenia relugoliksu, estradiolu i noretysteronu octanu w objawowym leczeniu endometriozy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie, nie są zbyt liczne. Wiedzę na temat działania leku czerpiemy z:

- dwóch randomizowanych, podwójnie zaślepionych badań III fazy SPIRIT 1 i SPIRIT 2, działanie złożonego preparatu relugoliksu-CT (relugoliks, estradiol i octan noretysteronu) z placebo,
- czterech badań RCT, dotyczących stosowania octanu leuproreliny w analizowanej populacji,
- badania SPIRIT EXTENSION (LTE) (faza przedłużonej obserwacji pacjentów z badań SPIRIT 1 i 2) w celu przeprowadzenia poszerzonej analizy skuteczności i bezpieczeństwa,
- opracowania wtórnego Viviano 2024, które dotyczyło zastosowania skojarzenia relugoliksu, estradiolu i octanu noretysteronu w analizowanej populacji.

Wyniki pośredniego porównania relugoliksu-CT oraz leuproreliny wskazują na przewagę relugoliksu-CT w odniesieniu do średniej zmiany wyniku dotyczącego bolesnego miesiączkowania ocenianego w skali NRS/VAS zarówno w 12., jak i 24. tygodniu terapii. Jednakże, odnotowano różnice na niekorzyść relugoliksu CT w porównaniu do leuproreliny w zakresie średniej zmiany wyniku dotyczącego bolesnego miesiączkowania i bólu miednicy niezwiązanego z miesiączką ocenianych w skali Biberoglu and Behrman w 24. tygodniu.

Nie odnotowano różnic pomiędzy obiema grupami w odniesieniu do średniej zmiany wyniku w skali NRS/VAS oceniającej ogólny ból miednicy w 12. i 24. tygodniu oraz średniej zmiany wyniku w skali poziomu bólu wg kwestionariusza: Profil Zdrowotny Endometriozy-30 (EHP-30) w 24. tyg.

W przedłużonej, niekontrolowanej obserwacji badań SPIRIT 1 i 2 (SPIRIT LTE) wykazano poprawę w zakresie bólu związanego z endometriozą wśród pacjentek randomizowanych do leczenia relugoliksem-CT, które uczestniczyły w badaniu przedłużonym. Odsetek osób z odpowiedzią w 104. tygodniu (24 tyg. fazy RCT i 80 tyg. fazy LTE) dla bolesnego miesięczkowania i niemiesięczkowego bólu miednicy wynosił odpowiednio 84,8% i 75,8%.

Po 104 tygodniach leczenia, w grupie relugoliku-CT, 95,3% kobiet miało minimalne lub zerowe bolesne miesięczkowanie, a 70,5% miało minimalne lub zerowe NMPP (ból miednicy nie związany z miesiączką).

Odsetek kobiet z klinicznie istotną poprawą w domenie bólu EHP-30 wynosił 75,9%, 83,6% i 88,6% odpowiednio w 24., 52. i 104. tygodniu leczenia.

Analiza bezpieczeństwa. Wyniki porównania bezpośredniego relugoliku-CT vs placebo wykazały, że znamienne częściej w grupie relugoliku CT występowały ból głowy, uderzenia gorąca, ból zębów oraz spadek libido. Z kolei, w grupie relugoliku CT w porównaniu z grupą placebo, rzadziej występowały trądzik oraz obniżony poziom witaminy D. Nie odnotowano różnic znamiennych statystycznie pomiędzy grupami w częstości wystąpienia poważnych zdarzeń niepożądanych, myśli samobójczych, AE stopnia 3. lub wyższego oraz AE prowadzących do przerwania leczenia. W obu grupach nie odnotowano zgonów.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono 4 rekomendacje postępowania klinicznego: Polskiego Towarzystwa Ginekologów i Położników (PTGiP) z 2024 r., European Society of Human Reproduction and Embryology (ESHRE) z 2022 r., National Institute for Health and Care Excellence (NICE) z 2024 r. i The Royal Australian and New Zealand College Of Obstetricians and Gynaecologists (RANZCOG) z 2025 r.

Zgodnie z polskimi wytycznymi PTGiP z 2024 r., przy braku skuteczności innej kombinacji DTA (dwuskładnikowych tabletek antykoncepcyjnych) + NLPZ lub wyjściowo przy dużym nasileniu bólu (uniemożliwiającym codzienne funkcjonowanie) można proponować analog GnRH + estrogen w małej dawce w terapii add-back lub leczenie operacyjne.

Zgodnie z treścią wytycznych: terapia endometriozy powinna być oparta na długofalowym planie z maksymalizacją leczenia farmakologicznego oraz minimalną liczbą zabiegów chirurgicznych. W leczeniu farmakologicznym endometriozy, zależnie od stawianego celu, używa się m.in: niesteroidowych leków przeciwzapalnych (NLPZ); dwuskładnikowych tabletek antykoncepcyjnych (DTA); progestagenów; agonistów GnRH / antagonistów GnRH i danazolu.

W wytycznych wskazuje się, że nie wykazano przewagi jednego rodzaju leczenia farmakologicznego nad innymi. Wybór leczenia farmakologicznego powinien być podyktowany indywidualną skutecznością u danej pacjentki, profilem działań niepożądanych, kosztem lub innymi preferencjami pacjentki (na przykład planowaniem ciąży).

Zastosowanie złożonych preparatów hormonalnych może zapobiegać utracie masy kostnej oraz objawom hypoestrogenizmu.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna ponoszonych przez płatnika kosztów refundowania Ryego w omawianym wskazaniu jest bardzo trudna, a jej wyniki niepewne. Powodem tego, przede wszystkim, jest brak dostatecznej wiedzy na temat wielkości populacji, która zostanie objęta leczeniem. Dotychczas, brakowało także w Polsce jednolitych standardów terapii endometriozy oraz sposobu refundowania tej terapii przez NFZ.

Na podstawie dostępnych informacji, Analitycy przedstawili prognozę wpływu refundowania Ryego na budżet płatnika publicznego. W przypadku objęcia refundacją produktu leczniczego Ryego nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o ok. 16,3 mln PLN w I. roku refundacji oraz spadek wydatków o ok. 8,4 mln PLN w II. roku refundacji w wariantcie bez RSS. W wariantcie uwzględniającym RSS, nastąpi

W przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej nastąpi również

W wariantcie minimalnym z RSS pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze

, natomiast w wariantcie bez RSS - ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 8,6 mln PLN w 1. roku analizy oraz oszczędnościami po stronie NFZ w 2. roku analizy, oszczędności na poziomie 4,8 mln PLN. W wariantcie maksymalnym

natomiast bez RSS - wzrost wydatków refundacyjnych NFZ o 19,4 mln PLN w 1. roku analizy oraz oszczędnościami po stronie NFZ w 2. roku analizy, oszczędności na poziomie 9,6 mln PLN.

Analiza wpływu na budżet jest bardzo niepewna z kilku powodów:

- niedoszacowana populacja pacjentek z endometriozy,

- wątpliwości dotyczące szacowanych oszczędności związanych z uniknięciem zabiegów operacyjnych,
- brak bezpośredniego porównania z komparatorem (ze zrozumiałych i uzasadnionych względów).

Prawdopodobnie refundacja leku będzie powodowała jednak zwiększenie wydatków z budżetu.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 6 rekomendacji finansowych dla leku Ryego: 5 pozytywnych (NICE 2025, SMC 2025, PBAC 2024, HAS 2024, ZN 2024) oraz 1 dokument niemieckiej GBA dot. oceny dodatkowej korzyści klinicznej.

W brytyjskiej rekomendacji NICE z 2025 roku uznano lek Ryego za skuteczny i opłacalny w leczeniu objawów endometriozy u kobiet, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie, zaznaczając, iż brakuje bezpośrednich badań porównawczych z leczeniem chirurgicznym i agonistami GnRH. Podobne wnioski zawarto w rekomendacji szkockiej SMC 2025 podkreślając, że dłuższe utrzymywanie odpowiedzi na leczenie w przypadku Ryego może ograniczyć potrzebę bardziej inwazyjnych interwencji i związanych z nimi kosztów.

Ryego jest refundowany we wszystkich wskazaniach rejestracyjnych, w tym we wskazaniu wnioskowanym w 11 krajach spośród 30 wskazanych krajów UE i EFTA. Poziom refundacji leku różni się między krajami i wynosi od 37 do 100%.

Główne argumenty decyzji

- Potwierdzona dwuletnia skuteczność w zmniejszaniu objawów bólowych u kobiet z endometriozą.
- Akceptowalna efektywność kosztowa.
- Pozytywne rekomendacje refundacyjne (NICE 2025, SMC 2025, PBAC 2024, HAS 2024, ZN 2024).
- Niepewność odnośnie skuteczności terapii powyżej 2 lat.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.0.10.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ryego (relugolixum + estradiolum + norethisterone acetate) we wskazaniu: objawowe leczenie endometriozy u dorosłych kobiet w wieku rozrodczym, które wcześniej były leczone farmakologicznie lub chirurgicznie”, data ukończenia: 27 czerwca 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Gedeon Richter Plc.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Gedeon Richter Plc.) 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 2025 r. poz. 129) 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 2025 r. poz. 129)

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Gedeon Richter Plc.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 82/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Arginine 2000
AA Supplement

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Arginine 2000 AA Supplement, proszek, saszetki 4 g, we wskazaniach:

- *deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC),*
- *lizynuryczna nietolerancja białka,*
- *zespół niedoboru kreatyny.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 4 kwietnia 2025 r. Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu Arginine 2000AA Supplement, proszek, saszetki 4 g, we wskazaniach: deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC), lizynuryczna nietolerancja białka oraz zespół niedoboru kreatyny.

Deficyt OTC to choroba genetyczna spowodowana przez niedobór transkarbamylazy ornityny (OTC), tj. enzymu wiążącego karbamylofosforan z ornityną. Deficyt tego białka powoduje zablokowanie cyklu mocznikowego na etapie produkcji cytruliny (i w następstwie także argininy). W klasycznej postaci pierwsze objawy choroby pojawiają się dość gwałtownie w pierwszych godzinach lub dniach życia u uprzednio zdrowego noworodka, zwykle po pierwszym posiłku zawierającym białko. Występują wymioty, obniżenie napięcia mięśniowego i temperatury ciała, drgawki, śpiączka, zaburzenia oddychania. Po zastąpieniu pokarmu mlecznego dożylnymi wlewkami glukozy i elektrolitów można stwierdzić przejściową poprawę. Powrót do prawidłowego żywienia powoduje ponowne pogorszenie choroby i zgon (objawy przypominają posocznicę lub uraz okołoporodowy). Choroba może ujawniać się także w późniejszych okresach życia u heterozygot płci żeńskiej. Leczenie polega na jak najszybszej eliminacji amoniaku z organizmu. Najefektywniejsza metoda to hemodializa. Należy pamiętać o ograniczeniu białka w diecie przy zachowaniu

wysokiej liczby kalorii w postaci stężonej glukozy i lipidów oraz suplementacji niezbędnych aminokwasów.

Lizynuryczna nietolerancja białka jest to rzadka choroba metaboliczna, dziedziczona autosomalnie recesywnie, spowodowana dysfunkcją transportera aminokwasów γ -LAT-1, białka transportowego aminokwasów dwuzasadowych (lizyny, argininy i ornityny). Charakteryzuje się ona nietolerancją pokarmu bogatego w białko z wtórnym zaburzeniem cyklu mocznikowego.

Zespół niedoboru kreatyny - do grupy schorzeń wynikających z zaburzeń biosyntezy i transportu kreatyny zaliczane są 3 jednostki chorobowe: deficyt metylotransferazy guanidynooctanu (GAMT), deficyt amidynotransferazy arginina – glicyna (AGAT) oraz deficyt transportera kreatyny (CRTR). Wymienione zaburzenia metaboliczne prowadzą do niedoboru kreatyny w mózgu. Do objawów zaburzeń syntezy kreatyniny należą: niepełnosprawność intelektualna w stopniu umiarkowanym lub znacznym, opóźnienie rozwoju mowy, zaburzenia ze spektrum autyzmu oraz padaczka. W przypadku chorób GAMT i AGAT stosuje się suplementację kreatyny, która przynosi zwykle zadowalające efekty. Według piśmiennictwa u pacjentów z CRTR również proponuje się suplementację kreatyną oraz aminokwasami: glicyną i arginina, stanowiącymi substrat do produkcji kreatyny, efekty leczenia jednak nie są satysfakcjonujące. W chwili obecnej leczenie pacjentów z CRTR jest ograniczone do leczenia objawowego.

Należy przy tym wskazać na poprzednie pozytywne stanowiska Rady Przejrzystości w zakresie wskazań: deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC) oraz lizynuryczna nietolerancja białka. Wskazanie „zespół niedoboru kreatyny” nie było dotychczas oceniane.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych rekomendacji dla wskazań: deficyt OTC oraz lizynuryczna nietolerancja białka.

Wytyczne kliniczne uwzględnione w poprzednich stanowiskach Rady Przejrzystości wymieniają suplementację arginina we wskazaniu deficyt transkarbamylazy ornitynowej (BIMDG 2017B). W badaniu Imbard 2023 wskazano na skuteczność argininy w ww. wskazaniu.

W przypadku wytycznych odnoszących się jedynie do lizynurycznej nietolerancji białka (BIMDG 2017B) wskazano na zastosowanie cytruliny. Należy jednak zauważyć, iż cytrulina jest prekursorem argininy i jest przekształcana w arginina z wykorzystaniem jednej cząsteczki azotu. W wytycznych AWMF 2018 podkreślono, że nie ma badań porównujących ich skuteczność, w związku z czym wybór aminokwasu zależy od dostępności i kosztów. Nie odnaleziono nowych dowodów dla ww. wskazania. Uwzględnione we wcześniejszej ocenie badanie

retrospektywne Simell 1975 potwierdza zasadność stosowania argininy w ww. wskazaniu.

Nie odnaleziono żadnych wytycznych dotyczących rekomendowanych sposobów leczenia pacjentów z zespołem niedoboru kreatyny. Na podstawie informacji ze strony „rarediseases.org”, których nie można uznać za wytyczne kliniczne, arginina jest stosowana w terapii pacjentów z odmianą choroby CRTR. Natomiast w dwóch pozostałych typach (GAMT i AGAT) stosuje się jedynie suplementację karnityną. W przeglądzie systematycznym Dunbar 2014 (w zakresie terapii CRTR) wskazano, że część pacjentów wykazuje podatność na leczenie - szczególnie łagodniejsze przypadki z występującą resztkową kreatyną w mózgu, a zatem z prawdopodobną resztkową funkcją białka (w schematach leczenia uwzględniano L-argininę).

Problem ekonomiczny

Wszystkie analizowane problemy zdrowotne stanowią choroby ultra rzadkie, w związku z czym nie są dostępne wiarygodne współczynniki epidemiologiczne dla ich występowania w populacji polskiej. W 2024 r. w Polsce w ramach importu docelowego sprowadzono łącznie 195 opakowań Arginine 2000 AA Supplement, dla 7 indywidualnych pacjentów, za kwotę 189 501 zł.

Główne argumenty decyzji

- *Pozytywne wcześniejsze stanowiska Rady Przejrzystości, w przypadku wskazań: deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC) oraz lizynuryczna nietolerancja białka.*
- *Problemy zdrowotne objęte wskazaniem to choroby ultra rzadkie.*
- *Dostępne wytyczne i badania wskazują na zasadność podawania argininy w ocenianych wskazaniach.*
- *Refundacja śsspż w ocenianych wskazaniach nie będzie wiązała się z istotnym obciążeniem dla płatnika publicznego.*

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.4211.9.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.41.2021 oraz OT.4311.20.2018) „Arginine 2000 AA Supplement we wskazaniach: deficyt transkarbamylazy ornitynowej (deficyt OTC) lizynuryczna nietolerancja białka zespół niedoboru kreatyny”, data ukończenia: 03.06.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 115/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku
o projekcie programu „Kompleksowa rehabilitacja dziecka
z niepełnosprawnością z terenu gminy Godów”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Kompleksowa rehabilitacja dziecka z niepełnosprawnością z terenu gminy Godów”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Godów: „Kompleksowa rehabilitacja dziecka z niepełnosprawnością z terenu Gminy Godów”. Okres realizacji PPZ to lata 2025-2030.

Planowane koszty całkowite PPZ zostały oszacowane na kwotę 137 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Godów.

Celem głównym programu jest „zwiększenie liczby dostępnych świadczeń zdrowotnych z zakresu rehabilitacji i terapii dla dzieci i młodzieży do 18 r.ż. wymagających rehabilitacji i terapii z terenu gminy Godów w latach 2025-2030”.

Populację docelową stanowią dzieci i młodzież zamieszkała i zameldowana na terenie gminy Godów, w przedziale wiekowym od 0 do 18 roku życia z deficytami rozwojowymi, w tym zaburzeniami rozwoju w zakresie ośrodkowego układu nerwowego i układu ruchu (ok. 100 osób). Należy przy tym wskazać, że w projekcie nie oszacowano populacji kwalifikującej się do udziału w PPZ. Przedstawiono jedynie informacje w zakresie liczby osób, które zostaną włączone do programu. Wielkość populacji została ustalona na podstawie danych statystycznych określających liczbę dzieci korzystających ze świadczeń rehabilitacyjnych w formie fizjoterapii ambulatoryjnej, poradni rehabilitacyjnej i ośrodka rehabilitacji dziennej.

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada:

- indywidualne sesje terapeutyczne w ramach wczesnej interwencji:*
 - rehabilitacja lecznicza: kinezyterapia, fizykoterapia, hydroterapia, masaż leczniczy,*
 - metody neurofizjologiczne: metoda NDT-Bobath, integracja sensoryczna,*
 - terapia psychologiczna: sala doświadczania świata (snoezelen),*

- terapia logopedyczna i neurologopedyczna: metoda krakowska, logorytmika,
 - terapia pedagogiczna,
 - terapia psychospołeczna, trening Umiejętności Społecznych (TUS), metoda ruchu rozwijającego wg. Weroniki Sherborne, metoda M. Ch. Knillów, muzykoterapia, dogoterapia, sensoplastyka®,
 - terapia zajęciowa,
- grupowe zajęcia korekcyjne:
- rehabilitacja lecznicza: kinezyterapia.

W projekcie programu nie został jednak opisany konkretny wymiar świadczeń przypadający na jednego uczestnika. Nie wiadomo zatem, ile konkretnych interwencji realizator zapewni każdemu uczestnikowi.

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

Należy wskazać, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Zatem interwencje przewidziane projektem PPZ w tym zakresie są zgodne z aktualną wiedzą medyczną. Przy czym należy zastrzec, że część wskazanych interwencji (np. muzykoterapia, dogoterapia, Terapia Integracji Sensorycznej) jest niezalecana lub brakuje wystarczającej ilości dowodów popierających jej skuteczność dla części uczestników z niepełnosprawnościami wskazanymi w projekcie. Nie jest zatem możliwa kompleksowa ocena skuteczności tych interwencji, ponieważ wnioskodawca nie wskazał, w jakich jednostkach chorobowych będą one stosowane (niepełnosprawność jest zbyt szeroką kategorią).

Autor projektu PPZ wskazał, że realizator programu musi spełniać warunki lokalowe, sprzętowe i kadrowe wynikające z ww. aktu prawnego.

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

Zgodnie z treścią projektu PPZ: „Przedstawiony program polityki zdrowotnej powstał w głównej mierze w celu uzupełnienia świadczeń gwarantowanych, finansowanych z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia. Świadczenia gwarantowane nie zaspakajają w pełni potrzeb rehabilitacyjnych i terapeutycznych młodych, niepełnosprawnych mieszkańców gminy Godów”. W treści projektu PPZ wskazano, że kwalifikowane do niego będą mogły być „osoby w wieku od 0 do 18 lat obciążone deficytami rozwojowymi, przede wszystkim korzystające z limitowanych gwarantowanych świadczeń zdrowotnych”.

Zgodnie z raportem AOTMiT na terenie gminy Godów umowy z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej nie posiada żaden świadczeniodawca. Podobnie jest w przypadku umowy z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji dzieci z zaburzeniami wieku rozwojowego w ośrodku/oddziale dziennym.

Należy także zaznaczyć, że ocenie AOTMiT podlegał również inny projekt programu gminy Godów. Projekt programu pn. „Program zdrowotny gminy Godów na lata 2012 - 2016”, otrzymał opinię pozytywną warunkowo. Nie otrzymano raportu końcowego z realizacji ww. programu. Wnioskodawca w treści projektu nie przedstawił także wyników realizacji poprzedniej edycji programu.

Uwagi Rady:

- Projekt programu dotyczy słabo zdefiniowanego i bardzo rozległego problemu zdrowotnego. Wnioskodawca nie określił jasno jednego problemu, tylko przedstawił cały katalog problemów zdrowotnych.
- Cel główny oraz cele szczegółowe zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy.
- Mierniki efektywności zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy lub nie spełniają funkcji mierników efektywności, co może również odbić się na ewaluacji programu.
- W zakresie populacji docelowej – nie oszacowano populacji kwalifikującej się do udziału w PPZ.
- Projekt PPZ nie przewiduje rozwiązania mającego na celu zabezpieczenie ryzyka podwójnego finansowania świadczeń, wręcz z treści projektu PPZ wynika dopuszczenie do udziału w programie osób korzystających ze świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
- W zakresie planowanych interwencji:
 - Projekt PPZ nie przewiduje lekarskiej/fizjoterapeutycznej wizyty kwalifikacyjnej.

- *Wnioskodawca przedstawił szeroki katalog interwencji, jednak projekt programu nie określa konkretnego wymiaru świadczeń przypadających na jednego uczestnika.*
- *Przy części interwencji wnioskodawca nie doprecyzował, w jakich jednostkach chorobowych będą stosowane poszczególne interwencje, co jest istotne z uwagi na to, że część interwencji jest niezalecana lub brakuje wystarczającej ilości dowodów dla części uczestników z niepełnosprawnościami.*
- *Z treści programu wynika, że miałyby on odnosić się również do działań edukacyjnych względem rodziców dzieci objętych programem, przy czym brak jest przewidzianych w programie jakichkolwiek działań interwencyjnych w tym zakresie, ta grupa nie została uwzględniona również w kryteriach kwalifikacji, opisie populacji czy też w opisie budżetu.*
- *W opisie etapów PPZ nie uwzględniono akcji informacyjno-promocyjnej, a sama akcja została opisana zdawkowo.*
- *Nie przedstawiono kosztów jednostkowych poszczególnych interwencji zaplanowanych w PPZ. Nie przedstawiono kosztów odnoszących się do działań informacyjnych, monitorowania oraz ewaluacji.*
- *Wnioskodawca jedynie częściowo zaplanował ocenę jakości świadczeń.*
- *Projekt PPZ w swojej treści wymienia szereg załączników, przy czym do projektu programu nie załączono żadnych załączników, co uniemożliwia zapoznanie się z ich treścią oraz analizę w kontekście całości programu.*
- *Brak informacji na temat realizacji poprzedniej edycji 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. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.47.2025 „Kompleksowa rehabilitacja dziecka z niepełnosprawnością z terenu Gminy Godów” realizowany przez: Gminę Godów, Warszawa, lipiec 2025 oraz Aneksami do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r., „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r. oraz „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 116/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
profilaktyki zaburzeń depresyjnych u dzieci i młodzieży
z województwa mazowieckiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zaburzeń depresyjnych u dzieci i młodzieży z województwa mazowieckiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez województwo mazowieckie. Zakłada zwiększenie o minimum 0,2% liczby identyfikowania zaburzeń depresyjnych wśród dzieci i młodzieży w wiek od 7 do 21 roku życia mieszkających w województwie mazowieckim w latach 2025-2027.

Populację stanowią:

- I grupa – dzieci i młodzież w wieku od 7 do 21 r. życia (u około 735 uczestników z I grupy docelowej przeprowadzone badanie przesiewowe w kierunku depresji, konsultacje ze specjalistą oraz edukacja zdrowotna oraz ok. 819 uczestników z I grupy docelowej (bez wcześniejszej diagnozy) skorzysta z konsultacji ze specjalistą, 25 sesji terapeutycznych oraz spotkania podsumowującego terapię)*
- II grupa – rodzice i opiekunowie prawni uczestników z I grupy (82 grupy wsparcia, edukacja zdrowotna dla rodziców/opiekunów prawnych uczestników ok. 958 uczestników z II grupy)*
- III grupa – kadra pedagogiczna korzystająca ze szkoleń (ok. 2858 osób w zakresie szkoleń)*

Interwencja obejmuje:

- badanie przesiewowe w kierunku wykrycia depresji,*
- konsultacje ze specjalistą,*
- sesje terapeutyczne,*
- edukacja zdrowotna uczestników,*

- konsultacja lekarska (opcjonalnie),
- grupy wsparcia dla rodziców/opiekunów prawnych uczestników,
- działania szkoleniowe dla kadry pedagogicznej.

Zgodnie z Mapami Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wystąpił bardzo ograniczony dostęp do świadczeń z zakresu opieki psychiatrycznej dzieci i młodzieży.

Rekomendacje dotyczą realizacji badań przesiewowych w kierunku zaburzeń lękowych.

Opinie eksperckie zwracają uwagę na potrzebę kompleksowego oddziaływania w profilaktyce leczenia depresji.

Budżet programu – koszt całkowity: 3 000 000 zł w roku 2025, 3 000 000 zł w roku 2026 oraz 3 000 000 w roku 2027. Źródło finansowania – budżet woj. mazowieckiego.

Podobny PPZ woj. mazowieckiego był opiniowany i uzyskał pozytywną (z uwagami) opinię Prezesa Agencji nr 18/2022.

Nadal budzą zastrzeżenia:

- sformułowanie celu głównego,
- sformułowanie celu szczegółowego nr 1,
- jeden ze wskaźników odnoszących się do poszczególnych grup docelowych został użyty nieprawidłowo.

Uwagi Rady:

- Cel główny nie odnosi się do efektu zdrowotnego;
- Cel szczegółowy nr 1 jest nieprawidłowo sformułowany - zawiera działanie i brak uzasadnienia dla wartości docelowej;
- W celu nr 2 brak uzasadnienia dla wartości docelowej;
- Nie przedstawiono wzorów pre- i post- testów wiedzy dla rodziców/opiekunów oraz kadry pedagogicznej;
- W teście wiedzy dla dzieci i młodzieży wskazano wzrost wiedzy o 1 punkt, a to nie świadczy o wysokim poziomie wiedzy;
- Wskaźnik nr 1 i nr 2 nie spełniają funkcji miernika efektywności, mogą natomiast zostać wykorzystane przy monitorowaniu;
- Wnioskodawca wskazuje różne nurty terapeutyczne, które różnią się założeniami i czasem trwania. Jednocześnie zaplanowano stałą liczbę 25 sesji, co wydaje się nieprecyzyjne;
- W monitorowaniu jeden ze wskaźników odnosi się bardziej do oceny efektywności.

- *Wskazane jest obniżenie kosztów i wskazanie personelu realizującego kwalifikację do programu oraz badania przesiewowe.*
- *Wskazane jest zdefiniowanie kwalifikacji do 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. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.48.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zaburzeń depresyjnych u dzieci i młodzieży z województwa mazowieckiego” realizowany przez: Województwo Mazowieckie, Warszawa, lipiec 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 117/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku
o projekcie programu „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie
rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod
diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym
na terenie województwa mazowieckiego”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji za pomocą zrobotyzowanych urządzeń rehabilitacji chodu. Populację docelową stanowią: grupa I – dzieci i młodzież w wieku od 5 do 18 r.ż. z rozpoznaniem mózgowym porażeniem dziecięcym (od 528 do 3 696 osób – w zależności od liczby cykli terapeutycznych, z których skorzystają uczestnicy) oraz grupa II – rodzice/opiekunowie faktyczni uczestników z I grupy (ok. 528 osób). Program został zaplanowany na lata 2026-2029. Koszt całkowity programu oszacowano na 28 603 941 zł. Projekt programu ma zostać dofinansowany ze środków UE w ramach programu Fundusze Europejskie dla Mazowsza 2021-2027, wkład krajowy (dofinansowanie ze środka Budżetu Państwa oraz wkład własny beneficjentów).

Projekt programu dotyczy problemu zdrowotnego, jakim jest mózgowe porażenie dziecięce (MPD). W opisie problemu zdrowotnego w sposób zwięzły przedstawiono m.in. definicję mózgowego porażenia dziecięcego oraz wymieniono jego rodzaje. Odniesiono się także do skutków oraz ograniczeń związanych z występowaniem MPD, zarówno dla osób chorych, jak i ich opiekunów. Oceniany projekt zawiera stosowne referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

W projekcie programu przedstawiono także opis sytuacji epidemiologicznej korespondującej z wybranym problemem zdrowotnym. Wnioskodawca odniósł się do danych światowych, ogólnopolskich oraz regionalnych. Podkreślono m.in. że „w Polsce nie jest prowadzony krajowy rejestr MPD, ale dane

epidemiologiczne są zbliżone do innych krajów Europy. Częstość występowania MPD w Polsce wynosi 2-3 przypadki na 1000 żywo urodzonych dzieci”.

W ramach interwencji w etapie I przewidziano kwalifikację do programu, badanie początkowe i opracowanie indywidualnego planu terapii (z wykorzystaniem następujących testów/pomiarów: obligatoryjnie: Time Up&Go Test (TUG), 10 m testu chodu (TMWT), 6-minutowego testu chodu (6MWT), skali Gross Motor Function Measure w części D (stanie) i E (chodzenie, bieganie i skakanie) (GMFM: D,E), oceny funkcjonalnej Functional Mobility Scale (FMS 5/50/500), oceny wyników rehabilitacji przy zastosowaniu skali Oceny Osiągania Celów (GAS) oraz Trójwymiarowej, Instrumentalnej Diagnostyki Funkcji Chodu (TIDFCh); fakultatywnie: skali Pediatric Evaluation of Disability Inventor (PEDI) w części: Umiejętności funkcjonalne – dziedzina Mobilność, testów wykonywanych przy pomocy zrobotyzowanych urządzeń do rehabilitacji), cykl terapeutyczny przy zastosowaniu zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu (10 sesji po ok. 60 minut; maks. 2 razy w ciągu roku, łącznie 7 razy w trakcie trwania programu), badanie końcowe (z wykorzystaniem testów/pomiarów wykonywanych w ramach badania początkowego).

W ramach etapu 2 przewidziano edukację zdrowotną dla rodziców/opiekunów faktycznych (spotkania trwające co najmniej 45 min. w formie indywidualnej bądź grupowej z możliwością wykorzystania narzędzi teleinformatycznych; możliwość skorzystania maks. 1 raz w trakcie uczestnictwa dziecka w PPZ – niezależnie od liczby cykli terapeutycznych), indywidualne wsparcie psychologiczne dla rodziców/opiekunów faktycznych (maks. 2 spotkania po 60 min. w trakcie uczestnictwa dziecka w PPZ – niezależnie od liczby cykli terapeutycznych; dla obojga rodziców/opiekunów; możliwość realizacji konsultacji z wykorzystaniem narzędzi teleinformatycznych).

W treści projektu wnioskodawca odniósł się również do danych z zakresu rehabilitacji, pochodzących z Map potrzeb zdrowotnych (MPZ) na lata 2022-2026, dostępnych w Bazie Analiz Systemowych i Wdrożeniowych (BASiW). Wskazano, że „z analiz BASiW za 2023 r. wynika, że rozpoznanie G80-G83 jest w grupie 10 najczęstszych chorób z powodu których udziela się świadczeń rehabilitacji medycznej. W grupie wiekowej 0-17 odsetek pacjentów z tym rozpoznaniem w skali kraju wynosił 3,6% (13 313 osób). Podobnie jest w województwie mazowieckim – wśród wszystkich korzystających ze świadczeń rehabilitacji udział pacjentów z MPD wynosił 3,1% (2 098 osób). 100% pacjentom z grupy wiekowej 0-17 udzielano świadczeń z zakresu rehabilitacji neurologicznej z powodu MPD”.

W projekcie przedstawiono oszacowania w zakresie liczebności populacji kwalifikującej się do udziału w programie. Wnioskodawca powołując się na dane BASiW wskazał, że w województwie mazowieckim w 2023 r. liczebność populacji dzieci i młodzieży w wieku 5-18 wynosiła 851 844 osoby. Należy wskazać,

że szacunki te są zbliżone do danych Głównego Urzędu Statystycznego. Dalej wskazano, że „zakładając częstość MPD na poziomie 2,5 na 1 000 można oszacować, że na Mazowszu będzie około 2 129 dzieci i młodzieży z tym rozpoznaniem. Szacuje się, że około 90% tej grupy będzie spełniać kryteria wejścia do programu”.

Wnioskodawca przedstawił również informacje w zakresie liczebności populacji, która będzie mogła wziąć udział w programie dla obu grup docelowych, przy uwzględnieniu budżetu PPZ w wysokości 28 603 941 zł. W odniesieniu do grupy I, w ramach szacunków przyjęto następujące założenia: „jeden cykl terapeutyczny składa się z 10 sesji terapeutycznych”, „jednostkowy bezpośredni koszt jednego cyklu terapeutycznego wynosi 6 080 zł a koszty pośrednie wynoszą 25%” oraz „każda osoba skorzysta przynajmniej raz ze wsparcia oferowanego w ramach programu (1 cykl terapeutyczny) lub wykorzysta maksymalne wsparcie (dozwolone uczestnictwo 2 razy w roku, maksymalnie 7 razy w ciągu trwania programu)”. Zakładając powyższe, wnioskodawca oszacował, że w ramach programu będzie można wykonać około 3 696 pełnych cykli terapeutycznych. Wskazano, że w trakcie trwania programu możliwe będzie uczestnictwo od ok. 528 do maksymalnie 3 696 osób (w zależności od liczby cykli terapeutycznych, z których skorzysta uczestnik). Natomiast w odniesieniu do II grupy docelowej założono, że: „z edukacji zdrowotnej dla rodziców/opiekunów faktycznych uczestników skorzysta ok. 528 uczestników z II grupy (koszt 240 zł za 60 min na 1 osobę)”, „przeprowadzonych zostanie 1 056 konsultacji w zakresie wsparcia psychologicznego (koszt: 480 zł za 2 spotkania po 60 min dla rodzica/opiekuna faktycznego uczestnika z I grupy)” oraz „koszty pośrednie wynoszą 25%”. Dalej wskazano, że biorąc pod uwagę powyższe szacunki oraz zaplanowany budżet programu, w trakcie jego trwania można przeprowadzić interwencje dla około 1 056 osób (przy skorzystaniu z maksymalnego wsparcia), w tym dla 528 osób z I grupy docelowej oraz 528 opiekunów faktycznych z II grupy docelowej. Warto zwrócić uwagę, że wątpliwości budzi założona przez wnioskodawcę wysokość kosztów pośrednich, które zgodnie z obliczeniami analityka Agencji powinny wynosić 10%, a nie jak wskazano w projekcie 25%. Nie jest do końca jasne, jak wpłynie to na szacunki w zakresie liczebności populacji docelowej.

Wnioskodawca w ramach budżetu przedstawił koszty jednostkowe oraz całkowite koszty realizacji programu. W ramach kosztów jednostkowych wskazano: 6 080 zł/os. – maksymalny bezpośredni koszt udziału w programie jednego uczestnika z I grupy docelowej, w tym: 190 zł – kwalifikacja uczestnika do programu, 885 zł – badanie początkowe, 320 zł – opracowanie indywidualnych celów terapii/planów opieki i zaplanowanie cyklu terapeutycznego, 380 zł – 1 sesja terapeutyczna przy użyciu zrobotyzowanej ortozy do rehabilitacji ruchu (3 800 zł – cykl 10 sesji) oraz 885 zł – badanie

końcowe; 720 zł/os. – maksymalny koszt bezpośredni udziału w programie uczestnika z II grupy docelowej, w tym: 240 zł/os. – koszt prowadzenia edukacji zdrowotnej wraz z pre-testem i post-testem dla rodziców/opiekunów faktycznych uczestników (koszt przypadający na 1 spotkanie 60 min) oraz 240 zł/spotkanie – koszt wsparcia psychologicznego dla rodziców/opiekunów faktycznych uczestników (2 spotkania – 480 zł). Ponadto wskazano, że „beneficjent może zapewnić możliwość dowożenia uczestników z I grupy do miejsca realizacji świadczeń oraz ich powrót do miejsca zamieszkania (tj. na badanie początkowe i opracowanie indywidualnych planów terapii, przeprowadzenie cykliw terapeutycznych przy zastosowaniu zrobotyzowanych systemów do rehabilitacji chodu, i na badanie końcowe)”. Zaznaczono, że koszt transportu będzie mógł stanowić 10% całej wartości projektu zgłoszonego w naborze.

W projekcie odniesiono się do sposobu oszacowania ww. kosztów jednostkowych. Wskazano, że „podane koszty wynikają z analizy dokonanej w I kwartale 2025 r. na podstawie kosztów dotychczas realizowanych programów polityki zdrowotnej obejmujących katalog świadczeń RPZ” oraz że są to koszty maksymalne, jakie wnioskodawcy będą mogli przedstawić w swoich wnioskach w ramach naboru. Podkreślono również, że „świadczenia zrealizowane w ramach programu i wykazane w sprawozdaniach przez poszczególnych beneficjentów nie mogą jednocześnie być sfinansowane z innych środków publicznych (w tym NFZ)”.

Należy wskazać, że zgodnie z informacjami odnalezionymi przez analityka na stronach internetowych przychodni rehabilitacyjnych działających w sektorze prywatnym, oferujących terapie z zastosowaniem zrobotyzowanych urządzeń chodu, ceny treningu na urządzeniu Lokomat (55-60 minut) oscylują w granicach 200-350 zł.

Należy zauważyć, że w przedstawionych przez wnioskodawcę kosztach jednostkowych nie uwzględniono kosztów przeprowadzenia akcji informacyjno-promocyjnej czy kosztów monitorowania i ewaluacji programu. Wskazano jedynie, że koszty monitorowania i ewaluacji zaliczone zostaną do kosztów pośrednich, natomiast w innej części, że „koszty pośrednie będą każdorazowo ustalane dla każdej umowy z beneficjentem”. Zgodnie z definicją, zawartą w Wytycznych dotyczących kwalifikowalności wydatków na lata 2021–2027, koszty pośrednie projektu, są to „koszty niezbędne do realizacji projektu, których nie można bezpośrednio przypisać do głównego celu projektu, w szczególności koszty administracyjne związane z obsługą projektu, która nie wymaga podejmowania merytorycznych działań zmierzających do osiągnięcia celu projektu” i można zaliczyć do nich m.in. koszty działań informacyjno-promocyjnych projektu. W wytycznych wskazano również, że koszty pośrednie projektu EFS+ są rozliczane wyłącznie z wykorzystaniem następujących stawek ryczałtowych:

25% kosztów bezpośrednich – w przypadku projektów o wartości kosztów bezpośrednich do 830 tys. PLN włącznie,

20% kosztów bezpośrednich – w przypadku projektów o wartości kosztów bezpośrednich powyżej 830 tys. PLN do 1 740 tys. PLN włącznie,

15% kosztów bezpośrednich – w przypadku projektów o wartości kosztów bezpośrednich powyżej 1 740 tys. PLN do 4 550 tys. PLN włącznie,

10% kosztów bezpośrednich – w przypadku projektów o wartości kosztów bezpośrednich przekraczającej 4 550 tys. PLN.

Wnioskodawca nie wskazał sumarycznych kosztów bezpośrednich realizacji PPZ. Natomiast zgodnie z szacunkami analityka, biorąc pod uwagę wskazaną w projekcie maksymalną liczbę uczestników z grupy I (3 696 osób) oraz z grupy II (528 osób) oraz wskazane powyżej maksymalne jednostkowe koszty bezpośrednie dla każdej z tych grup (odpowiednio 6 080 zł oraz 720 zł), koszty bezpośrednie realizacji programu wynoszą 22 851 840 zł. Mając na uwadze stawki ryczałtowe wskazane w ww. wytycznych, koszty pośrednie w przypadku przedmiotowego projektu powinny wynosić 10% kosztów bezpośrednich (zgodnie z obliczeniami analityka – 2 285 184 zł). Należy zwrócić uwagę, że wnioskodawca wskazał, że koszty pośrednie wynoszą 25%, co nie jest zgodne z ww. obliczeniami.

W projekcie nie przedstawiono kosztów programu w podziale na poszczególne lata realizacji. Całkowity budżet programu oszacowano na 28 603 941 zł. Należy zaznaczyć, że w treści projektu nie przedstawiono informacji w zakresie sposobu oszacowania planowanych kosztów całkowitych PPZ. Podkreślono natomiast, że „ww. kwoty są kwotami szacunkowymi, dokładny budżet programu zostanie wskazany w ogłoszeniu o naborze” oraz że „budżet programu może zostać zwiększony lub zmniejszony”. Biorąc pod uwagę ww. nieścisłości w zakresie oszacowania kosztów pośrednich, całkowity koszt realizacji programu wymaga weryfikacji.

Program ma zostać dofinansowany ze środków UE w ramach programu Fundusze Europejskie dla Mazowsza 2021-2027 oraz z wkładu krajowego (dofinansowanie ze środka Budżetu Państwa oraz wkład własny beneficjentów). W projekcie wskazano również, że „warunki i wysokość dofinansowania będzie określała umowa zawarta z beneficjentami programu”.

Główne argumenty decyzji:

- Budżet projektu jest obciążony dużą niepewnością i ryzykiem przeszacowania kosztów,
- Koszty pośrednie zostały przeszacowane względem zadeklarowanych kosztów bezpośrednich.

Uwagi Rady:

Cele i mierniki:

- *Cel szczegółowy nr 4 (dot. poziomu wiedzy) nie jest do końca spójny z przypisanym do niego miernikiem efektywności.*
- *Przedstawione uzasadnienie wartości docelowych budzi wątpliwości.*

Populacja i interwencja:

- *Szacunki w zakresie liczebności populacji docelowej budzą wątpliwości (przyjęto w nich założenie, że koszty pośrednie wynosić będą 25%, natomiast zgodnie z obliczeniami analityka powinny wynosić 10% – nie jest do końca jasne, jak wpłynie to na szacunki w zakresie liczebności populacji docelowej).*
- *Edukacja zdrowotna – do projektu nie dołączono wzoru pre-i post testu oceniającego poziom wiedzy uczestników działań edukacyjnych.*
- *Wsparcie psychologiczne – w projekcie występuje niespójność w zakresie możliwego uczestnictwa w interwencji dzieci i młodzieży.*

Monitorowanie i ewaluacja:

- *Ocena zgłaszalności do programu nie uwzględnia pomiaru liczby osób zgłaszających się i zakwalifikowanych do programu z II grupy docelowej, uczestniczącej w działaniach edukacyjnych.*

Budżet:

- *Nie wyodrębniono kosztów monitorowania i ewaluacji oraz akcji informacyjno-promocyjnej.*
- *Sposób oszacowania kosztów całkowitych nie jest jasny.*
- *Nie przedstawiono kosztów w podziale na poszczególne lata realizacji PPZ.*
- *Nie przedstawiono sumarycznych kosztów bezpośrednich, natomiast wysokość kosztów pośrednich wskazanych w projekcie (25%) budzi wątpliwości.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: OT.431.50.2025 „Regionalny Program Zdrowotny w zakresie rozszerzenia dostępności nowoczesnych instrumentalnych metod diagnostyki i rehabilitacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym na terenie województwa mazowieckiego” realizowany przez: Województwo Mazowieckie, Warszawa, lipiec 2025 oraz Aneks do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r. oraz Raportem nr OT.431.24.2023 dot. programu polityki zdrowotnej pn. „Rozszerzenie dostępności robotycznie wspomaganey diagnostyki funkcjonalnej i rehabilitacji dzieci i młodych dorosłych z mózgowym porażeniem dziecięcym i innymi zespołami porażennymi na terenie Województwa Wielkopolskiego”.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 118/2025 z dnia 7 lipca 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną etanerceptum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Lekczniczego, tj. leczenie obwodowej postaci SpA

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną etanerceptum we wskazaniach pozarejestacyjnych, tj. leczenie obwodowej postaci SpA w ramach programu lekowego B.82.

Uzasadnienie

U pacjentów z obwodowymi manifestacjami chorób z grupy spondyloartropatii, opornymi na terapię nie-biologicznymi DMARD zaleca się biologiczne DMARD. Zgodnie z obowiązującymi wytycznymi EULAR i wielu narodowych towarzystw naukowych, w terapii biologicznymi DMARD w przebiegu SpA preferowany jest jeden z inhibitorów TNF alfa (w tym etanercept).

Od czasu poprzedniej opinii Rady Przejrzystości nr 122/2022 z dnia 8 sierpnia 2022 roku w przedmiotowej sprawie, nie pojawiły się żadne nowe dowody naukowe ani wytyczne fachowe mogące wpłynąć na stanowisko Rady.

Tym samym Rada uznaje za uzasadnione utrzymanie refundacji leków zawierających substancję czynną etanercept we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie obwodowej postaci SpA w ramach programu lekowego B.82.

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).