



BP.401.20.2025.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 35/2025
w dniu 11 sierpnia 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzyła posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Anna Czerniecka-Kubicka
2. Andrzej Dąbrowski
3. Małgorzata Dziedziak
4. Marcin Kołakowski
5. Tomasz Pasierski
6. Zbigniew Siudak
7. Anna Socha-Banasiak
8. Małgorzata Szniłowska
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni na posiedzeniu Rady:

1. Paweł Grzesiewski

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Hemlibra (emicizumabum) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.128.FM „Leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową (AHP) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat (ICD-10: E80.2)”.

5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej dzieci i młodzieży w mieście Żyrardów na lata 2026-2028”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Powiatu Lubańskiego na lata 2026-2028”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej Zapobieganie chorobom przenoszonych drogą płciową pn. Dobrostan Wrocławskich Studentów”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Besko na lata 2025- 2030”.
9. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.150 „Leczenie chorych z toczeniem rumieniowatym układowym (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.135. „Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34)”.
11. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej tocilizumab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.135. „Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34)”.
12. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie leku Hemlibra (emicizumabum).

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Marcin Kołakowski, Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Małgorzata Sznitowska i Andrzej Dąbrowski.

W dalszej części dyskusji i formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji podsumował raport dot. zakwalifikowania świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych.

Głos we wstępnej dyskusji Rady zabrali: Małgorzata Dziedziak, Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Andrzej Dąbrowski i Anna Czerniecka-Kubicka

W dyskusji i formułowaniu końcowej wersji uchwały udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski i Anna Czerniecka-Kubicka.

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

Ad 4. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.128.FM.

Projekt opinii Rady przedstawiła Aleksandra Zasada.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego dot. rehabilitacji w mieście Żyrardów.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Sznitowska, Marcin Kołakowski, Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 6. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego z zakresu rehabilitacji leczniczej dla mieszkańców powiatu lubańskiego.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Zbigniew Siudak i Małgorzata Dziedziak.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak, a następnie Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego pn. Dobrostan Wrocławskich Studentów (m. Wrocław).

We wstępnej dyskusji uczestniczyli: Anna Socha-Banasiak, Tomasz Pasierski, Marcin Kołakowski, Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Dziedziak, Andrzej Dąbrowski i Aleksandra Zasada.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

W dalszej dyskusji i formułowaniu końcowej wersji opinii Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Dziedziak i Aleksandra Zasada.

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

Ad 8. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego dot. depresji w gminie Besko.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

Głos w dyskusji zabrali Tomasz Pasierski i Marcin Kołakowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.150.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji Rady udział wzięli Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 10. Analitik Agencji omówił raport dot. substancji czynnej rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.135, a następnie projekt opinii Rady przedstawił Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Analitik Agencji zaprezentował dane z raportu dot. substancji czynnej tocilizumab we wskazaniu pozarejestacyjnym w ramach programu lekowego B.135.

Projekt opinii przygotował i przedstawił Zbigniew Siudak.

Głos w dyskusji zabrali Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:44.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 108/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu
lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A
niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1 fiol. 0,4 ml, GTIN: 07613326059008;*
- *Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1, fiol. 1 ml, GTIN:07613326004756;*
- *Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 0,4 ml, GTIN:07613326004442;*
- *Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 0,7 ml, GTIN: 07613326004534;*
- *Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 1 ml, GTIN:07613326004763;*

w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztów terapii emicizumabem do poziomu kosztów terapii profilaktycznej czynnikiem VIII.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- *zapisy dotyczące kryteriów kwalifikacji pacjentów z postacią umiarkowaną hemofilii nie umożliwiają priorytetowego włączania do programu pacjentów o najwyższym obciążeniu chorobą, ponieważ wskazany warunek dotyczy częstości wylewów/krwawień, a nie uwzględnia stopnia ciężkości oraz faktu czy krwawienie wystąpiło samoistnie,*
- *należy rozważyć dostęp do leczenia profilaktycznego u pacjentów pediatrycznych z umiarkowaną postacią choroby o ciężkim przebiegu klinicznym,*
- *dla pacjentów otrzymujących koncentraty czynnika VIII należy rozważyć dodanie wymogu uprzedniego prawidłowego stosowania profilaktyki*

krwawień, doprecyzowując definicję prawidłowo stosowanej profilaktyki oraz określenie czasu uprzedniego jej prowadzenia,

- nie określono liczby i rodzaju krwawień, które w sposób obiektywny warunkowałyby konieczność przerwania terapii emicizumabem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Hemlibra był przedmiotem oceny AOTMiT m.in. w leczeniu pacjentów z ciężką hemofilią A w 2023 roku w ramach programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”; w 2023 r. u pacjentów pediatrycznych w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD -10: D66, D67)” oraz w 2024 roku w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dorosłych z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem (ICD-10: D66)”. Rada Przejrzystości wydała pozytywne oceny pod warunkiem obniżenia kosztów terapii (uchwały nr 108/2023, 140/2023, 68/2024), natomiast stanowiska Prezesa AOTMiT były negatywne.

Obecnie produkt leczniczy Hemlibra jest refundowany od 1 lipca 2024 r. w ramach programu lekowego B.15. Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67).

Przedmiotowy wniosek dotyczy rozszerzenia wskazań refundacyjnych dla leku Hemlibra (emicizumab) o leczenie:

- pacjentów pediatrycznych z ciężką postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem nieobjętych dotychczas leczeniem w ramach programu lekowego B.15.;
- dorosłych pacjentów z ciężką postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem;
- pacjentów pediatrycznych i dorosłych pacjentów z umiarkowaną postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem (o aktywności czynnika krzepnięcia VIII $> 1\%$ i $\leq 5\%$ normy z ciężkim fenotypem krwotocznym definiowanym jako więcej niż 6 wylewów w ciągu 12 miesięcy).

Produkt leczniczy Hemlibra nie był przedmiotem oceny AOTMiT w leczeniu umiarkowanej postaci hemofilii. Oceniany wniosek refundacyjny dotyczy również prezentacji leku, która nie była dotychczas finansowana ze środków publicznych (tj.: roztworu do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1 fiol. 0,4 ml).

Emicizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, zmodyfikowaną immunoglobuliną G4 (IgG4). Produkt leczniczy Hemlibra jest to roztwór do podania podskórnego; został dopuszczony do obrotu przez EMA w roku 2018 w ramach przyspieszonej procedury „accelerated assessment”. Produkt jest wskazany do stosowania we wszystkich grupach wiekowych w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A (wrodzonym niedoborem czynnika VIII).

Emicizumab stanowi łącznik pomiędzy aktywowanym czynnikiem IX a czynnikiem X, w celu odtworzenia czynności brakującego FVIIIa, który jest niezbędny dla skutecznej hemostazy. Objawy skazy krwotocznej ujawniają się zwykle na przełomie 1. i 2. r.ż. Klasyfikacja hemofilii zależy od aktywności czynnika VIII (F VIII): <1% normy – ciężka; 1–5% normy – umiarkowana; >5 do <40% normy (lub ≥40%, jeśli się stwierdza chorobotwórczą mutację genu czynnika VIII) – łagodna.

Nadrzędnym celem w postępowaniu z chorym na hemofilię powinno być zapobieganie samoistnym krwawieniom do stawów i mięśni, wylewom krwi zagrażającym życiu, prewencja krwawień w okresie okołoperacyjnym oraz skuteczne zwalczanie wszystkich ostrych epizodów krwotocznych.

W 2024 roku chorych z hemofilią w populacji pediatrycznej wg danych NFZ było 658 osób, natomiast w populacji dorosłych 1613 osoby.

Uwzględniając charakterystykę populacji docelowej oraz obecną praktykę kliniczną w Polsce, w rozpatrywanej populacji chorych za komparator dla emicizumabu należy uznać profilaktykę krwawień czynnikiem krzepnięcia VIII. Zgodnie z danymi NFZ w 2024 roku w ramach programu lekowego B.15 stosowano emicizumab i rekombinowane koncentraty czynnika VIII (odpowiednio: 36 i 332 pacjentów). W ramach programu w omawianym wskazaniu dostępne są także koncentraty czynnika VIII osoczopochodne (ludzkie), jednak od 2021 nie są stosowane u żadnego pacjenta. Emicizumab (refundowany od 1 lipca 2024 r.) przyjmowało 36 pacjentów w 2024 roku, natomiast w I kwartale br. 46 pacjentów.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa włączono badania pierwotne: HAVEN 3 – badanie randomizowane, otwarte, wieloośrodkowe, fazy III; HAVEN 4 i HAVEN 6 – badania jednoramienne, eksperymentalne, wieloośrodkowe, fazy III oraz HAVEN 7 – badanie jednoramienne, eksperymentalne, wieloośrodkowe, fazy IIIb. Do analizy włączano również 6 badań obserwacyjnych oraz 8 przeglądów systematycznych.

Wnioskowaną technologię porównywano z komparatorem: stosowanie koncentratów czynnika krzepnięcia VIII. Analiza kliniczna wskazuje na skuteczność leku Hemlibra u pacjentów w wieku od 12 lat z ciężką hemofilią bez inhibitorów FVIII (HAVEN 3, HAVEN 4), u pacjentów z wagą od 3 kg z umiarkowaną lub łagodną hemofilią bez inhibitorów FVIII (HAVEN 6) oraz u pacjentów w wieku do 12 miesięcy z ciężką hemofilią bez inhibitorów FVIII (HAVEN 7). Biorąc pod uwagę wyniki z badań HAVEN 3 i HAVEN 4 w krótszym okresie obserwacji oraz dane przedstawione w 5-letnim okresie obserwacji wnioskować można o utrzymującej się w czasie skuteczności emicizumabu. Ograniczeniem wnioskowania dotyczącego umiarkowanej hemofilii A w badaniu HAVEN 6 jest obecność ok. 29% chorych z łagodną postacią choroby. Niemniej

prawie wszyscy chorzy z badania HAVEN 6 zostali zakwalifikowani do leczenia profilaktycznego z powodu częstych lub ciężkich krwawień w wywiadzie, co odpowiada definicji ciężkiego fenotypu krwotocznego, a głównym celem stosowania profilaktyki jest ograniczenie liczby krwawień.

Wyniki metaanalizy potwierdzają wyższą skuteczność profilaktyki emicizumabem nad profilaktyką FVIII u chorych z hemofilią A bez inhibitorów (Muniz 2023, Reyes 2019).

Obserwowane zdarzenia niepożądane były łagodne i dotyczyły reakcji w miejscu wstrzyknięcia, bez przypadków zatorów i nie odnotowano ciężkich zdarzeń związanych z leczeniem. Niemożliwe było jednak przeprowadzenie porównania bezpieczeństwa emicizumabu względem profilaktyki FVIII. Porównania te nie zostały również przeprowadzone przez autorów odnalezionych opracowań wtórnych.

Przedłożona analiza kliniczna nie dostarcza długoterminowych, wysokiej jakości dowodów dotyczących długookresowego wpływu profilaktyki krwawień za pomocą emicizumabu na punkty końcowe dotyczące rozwoju fizycznego, aktywności fizycznej, stanu stawów i w konsekwencji redukcji przeprowadzanych zabiegów ortopedycznych, czy zapobiegania progresji niepełnosprawności, w porównaniu z przyjętym komparatorem.

Brak jest badań randomizowanych obejmujących wnioskowaną populację pacjentów [w tym dot. kryteriów uprzednio prawidłowo prowadzonej profilaktyki czynnikiem VIII u pacjentów z ciężką hemofilią A (z wyłączeniem kwalifikowanych po raz pierwszy do leczenia profilaktycznego) oraz definicji ciężkiego fenotypu krwotocznego u pacjentów z umiarkowaną postacią hemofilii], w których porównano by zamianę terapii najlepszą możliwą profilaktyką czynnikiem VIII z profilaktyką epizodów krwawień za pomocą emicizumabu lub kontynuację profilaktyką czynnikiem VIII. Istnieje duża niepewność dotycząca tego, czy pacjenci byli leczeni optymalnie w ramach profilaktyki krwawień.

Wytyczne kliniczne

Wszystkie odnalezione wytyczne wskazują na konieczność prowadzenia długoterminowej, spersonalizowanej profilaktyki krwawień u pacjentów z hemofilią A w każdym wieku oraz na przewagę profilaktyki nad epizodycznym leczeniem krwawień (polskie wytyczne PTOHD 2022, wytyczne międzynarodowe WFH 2020 i ISTH 2024 oraz rekomendacje brytyjskie BSH 2020 i amerykańskie MASAC 2022/2024). Analizowane dokumenty zalecają rozpoczęcie stosowania profilaktyki u dzieci przed trzecim rokiem życia, najlepiej przed wystąpieniem pierwszego krwawienia do stawów. Rekomendowanym postępowaniem jest stosowanie koncentratów czynników krzepnięcia, przede wszystkim rekombinowanego FVIII, a w niektórych okolicznościach także koncentratów osoczo pochodnych. Alternatywą jest stosowanie emicizumabu. W wytycznych wydanych przed rozszerzeniem wskazania rejestracyjnego produktu leczniczego

Hemlibra o pacjentów z umiarkowaną postacią choroby, emicizumab jest zalecany do stosowania pacjentom z ciężką hemofilią A (BSH 2020) i u pacjentów o ciężkim fenotypie choroby (WFH 2020).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z wynikami analizy Wnioskodawcy zastosowanie leku Hemlibra w porównaniu z FVIII wiąże się

Koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość wynosi z uwzględnieniem RSS , a bez uwzględnienia RSS 7 214 830 PLN/QALY i znajduje się znacznie powyżej przyjętego progu opłacalności (217 641 PLN/QALY).

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Objęcie refundacją wnioskowanej technologii medycznej w populacji wnioskowanej w wariancie bez uwzględnienia RSS będzie związane ze wzrostem nakładów w wysokości 98,35 mln PLN w I roku, 358,74 mln PLN w II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej. W wariancie z uwzględnieniem RSS będzie to związane ze w I roku, w II roku

Wydatki płatnika publicznego na finansowanie leku Hemlibra w omawianym wskazaniu (tylko koszt leku) w pierwszych dwóch latach refundacji wyniosą , odpowiednio w wariancie z uwzględnieniem RSS oraz bez uwzględnienia RSS.

Główne zidentyfikowane ograniczenia przeprowadzonej analizy wpływu na budżet dotyczą charakteru przejścia pacjentów na terapię za pomocą emicizumabu, przyjętego horyzontu czasowego analizy, prognozy dot. przejmowania udziałów wnioskowanej technologii lekowej. Dodatkowo nie uwzględniono w ramach szacunków populacji pacjentów dorosłych pacjentów z umiarkowaną postacią choroby.

Według analizy Agencji założono, iż odsetek pacjentów stosujących ocenianą technologię w scenariuszu nowym będzie wynosić 50%. Uwzględniono także dodatkowo pulę dorosłych pacjentów z umiarkowaną postacią choroby, tj. 25 pacjentów (analiza eksperta).

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono pięć rekomendacji pozytywnych (HAS 2019, HAS 2023, TLV 2018, TLV 2022, PHARMAC 2023), trzy rekomendacje pozytywne warunkowo (CADTH 2020, ZIN 2020, ZIN 2023), jedną rekomendację negatywną (TLV 2019) oraz dwie oceny korzyści przeprowadzone przez IQWiG (IQWiG 2019, IQWiG 2023).

Ogółem trzy spośród odnalezionych ocen dotyczyły hemofilii A z inhibitorami czynnika VIII, siedem ocen dotyczyło ciężkiej hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII, zaś trzy oceny – umiarkowanej hemofilii A z ciężkim fenotypem krwawienia. W rekomendacjach pozytywnych warunkowo zaleca się, aby koszty leczenia emicizumabem nie przekraczały kosztów leczenia profilaktycznego czynnikiem VIII.

Niemiecki IQWiG wskazał w swoich opiniach na brak udowodnienia w ocenianych wskazaniach dodatkowej korzyści terapeutycznej względem wybranych komparatorów. G-BA wydała pozytywną opinię na temat finansowania emicizumabu dla każdego z ocenianych wskazań.

Zarówno rekomendacja kanadyjska, jak i holenderska zawierają podobne wymaganie, jak przedstawione w stanowisku Rady, tj. koszt emicizumabu dla płatnika publicznego nie powinien przekraczać kosztu ponoszonego przez płatnika publicznego leczenia pacjentów najmniej kosztowną substytucją FVIII, która jest refundowana w leczeniu profilaktycznym pacjentów z hemofilią A bez inhibitorów FVIII.

Główne argumenty decyzji

- technologia o udokumentowanej skuteczności oraz bezpieczna;*
- wygodna droga podania (podanie podskórne);*
- brak alternatywy leczenia chorych, u których leczenie czynnikiem VIII jest utrudnione oraz występuje duże nasilenie choroby;*
- rekomendacje kliniczne zalecające stosowanie leku w omawianych wskazaniach.*
- ekstremalnie wysoki koszt terapii.*

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: DAS.423.1.2.2025 „Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego »Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)«”; data ukończenia: 31 lipca 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem 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. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

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

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



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 109/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia diagnostyczno-
lecniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu
do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego
z zakresu leczenia szpitalnego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności wprowadzenia świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego.

Populację docelową dla wnioskowanego świadczenia będą stanowić pacjenci z obecnością tzw. trudnych złogów w drogach żółciowych/trzustkowych oraz z nieokreślonymi zwężeniami dróg żółciowo-trzustkowych mogącymi wskazywać na rozwój choroby nowotworowej.

Problem zdrowotny

Zwężenia przewodów żółciowych i trzustkowych mogą być wywołane przez zmiany o charakterze łagodnym lub złośliwym i wymagają diagnostyki różnicowej. Do 20% zwężeń dróg żółciowych pozostaje nieokreślonych po ocenie przedoperacyjnej (na podstawie standardowych badań, takich jak badania laboratoryjne, obrazowanie jamy brzusznej czy ECPW z wymazem szczoteczkowym) i wymaga interwencji chirurgicznej w celu postawienia ostatecznej diagnozy. Jedna czwarta zwężeń podejrzanych o złośliwość okazuje się łagodna w momencie resekcji chirurgicznej.

Kamica przewodowa najczęściej wynika z przemieszczenia złogów z pęcherzyka żółciowego do dróg żółciowych (kamica przewodów żółciowych) lub stanowi następstwo przewlekłego zapalenia trzustki (kamica przewodu trzustkowego). Trudne kamienie definiuje się na podstawie ich rozmiaru (>1,5 cm), liczby, nietypowego kształtu lub położenia, a także z powodu czynników anatomicznych

(np. dystalne względem kamienia zwężenie przewodu żółciowego, sigmoidalny kształt przewodu żółciowego wspólnego [CBD, ang. common bile duct], zaklinowanie kamienia, skrócony dystalny odcinek CBD, ostre zagięcie dystalnego odcinka CBD). W tego rodzaju przypadkach klinicznych standardowe metody leczenia okazują się nieskuteczne i wymagają powtarzania procedur i/lub zastosowania bardziej zaawansowanych technik terapeutycznych.

Wskazaniami do „świadczania diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji” byłoby przede wszystkim:

- zwężenie dróg żółciowych o nieokreślonej etiologii (podejrzenie nowotworu żółciowego) – widoczne w badaniach obrazowych,
- obecność „dużych/trudnych” kamieni w drogach żółciowych/trzustkowych,
- patologiczne zmiany w obrębie dróg żółciowych/trzustkowych o niejasnej etiologii, które nie zostały zdiagnozowane przy użyciu innych metod.

Dowody naukowe

Większość dostępnych w literaturze badań charakteryzuje się ograniczoną wiarygodnością (spośród 27 włączonych badań do analizy podstawowej tylko sześć stanowiły RCT, z czego pięć dotyczyło wyłącznie przezustnej SOCP terapeutycznej w drogach żółciowych).

Wyniki RCT wskazują na istotnie wyższą czułość biopsji wykonywanej pod kontrolą przezustnej SOCP względem ECPW z wymazem szczoteczkowym oraz na istotnie wyższą czułość i dokładność oceny wizualnej przezustnej SOCP względem oceny wizualnej ECPW, w populacji pacjentów z nieokreślonymi zwężeniami dróg żółciowych. Wyniki badań wskazują, że przezustna pankreatoskopia jest użyteczną procedurą w diagnostyce IPMN. Wyniki RCT wskazują na istotnie wyższą skuteczność przezustnej SOCP względem innych technik endoskopowych oraz nie gorszą skuteczność od laparoskopowej eksploracji przewodu żółciowego wspólnego w usuwaniu trudnych kamieni żółciowych. Wyniki badań wskazują na wysoką skuteczność przezustnej SOCP w usuwaniu kamieni z przewodu trzustkowego.

Problem ekonomiczny

Do przeglądu systematycznego opublikowanych analiz ekonomicznych włączono trzy publikacje: jedną analizę użyteczności kosztów (Njei 2017) i dwie analizy porównania kosztów (Sandha 2018, Deprez 2018), a także analizy ekonomiczne z raportów HTA z innych państw, tj. analizę użyteczności kosztów z Walii (HTW 2020) oraz analizę efektywności kosztów z Australii (MSAC 2022). Przezustna SOCP z biopsją celowaną jest najbardziej kosztowo-efektywną strategią diagnostyki pacjentów z pierwotnym stwardniającym zapaleniem dróg żółciowych z podejrzeniem zwężenia dróg żółciowych z powodu raka dróg żółciowych spośród pięciu analizowanych strategii. Przezustna SOCP z biopsją

celowaną wiązała się z wyższymi kosztami oraz wyższym QALY, zarówno względem ECPW z pobraniem materiału do badania cytologicznego oraz ECPW z biopsją (Njei 2017). W populacji pacjentów z nieokreślonymi zwężeniami dróg żółciowych po niejednoznacznym wyniku ECPW, przezustna SOCP jest strategią kosztowo-efektywną zarówno względem powtórnej ECPW, jak i zabiegu chirurgicznego (HTW 2020). W przeliczeniu na prawidłowo zdiagnozowanego pacjenta, przezustna SOCP z biopsją wiąże się z oszczędnościami względem ECPW z wymazem szczoteczkowym i/lub biopsją w populacji pacjentów z nieokreślonymi zwężeniami dróg żółciowych, u których wcześniej wykonano ECPW z wymazem szczoteczkowym i/lub biopsją (MSAC 2022). Przezustna SOCP wiąże się z redukcją kosztów względem ECPW w przypadku diagnostyki nieokreślonych zwężeń dróg żółciowych i leczenia trudnych kamieni żółciowych (Deprez 2018), a także względem otwartej oraz laparoskopowej eksploracji CBD w przypadku leczenia trudnych kamieni (Sandha 2018).

Według oszacowań własnych Agencji, koszty inkrementalne dla płatnika publicznego, wynikające z realizacji świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych i trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego wyniosą:

- ok. 5,5 mln zł w pierwszym roku oraz 6,6 mln zł w drugim roku prognozy w wariancie minimalnym,
- ok. 14,9 mln zł w pierwszym roku oraz 15,9 mln zł w drugim roku prognozy w wariancie najbardziej prawdopodobnym,
- ok. 18,4 mln zł w pierwszym roku oraz 19,6 mln zł w drugim roku prognozy w wariancie maksymalnym.

Według Analityków Agencji, rzeczywiste inkrementalne koszty dla płatnika publicznego wynikające z realizacji świadczenia diagnostyczno-leczniczego dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego będą w znacznym stopniu zależne od przyjętych kryteriów kwalifikacji pacjentów do ww. świadczenia oraz ich prawidłowej weryfikacji zgodnie z tymi kryteriami. Koszty mogą wzrosnąć, jeśli do przedmiotowego świadczenia będą kwalifikowani pacjenci, u których standardowe metody endoskopowe są skuteczne w ustaleniu etiologii zwężeń oraz usuwaniu kamieni z dróg żółciowo-trzustkowych. Im bardziej skomplikowane przypadki, tym potencjalne inkrementalne koszty dla płatnika publicznego będą niższe, a nawet mogą wiązać się z oszczędnościami.

Procedura cholangioskopii i/lub pankreatoskopii finansowana jest w dziewięciu krajach (Australia, Belgia, Czechy, Estonia, Francja, Królestwo Niderlandów, Łotwa, Niemcy, Wielka Brytania).

Główne argumenty decyzji

- Wytyczne kliniczne zalecają stosowanie przezustnej cholangiopankreatoskopii (SOCP) w diagnostyce zwężeń w obrębie dróg żółciowych oraz głównego przewodu trzustkowego.
- Istotne uzupełnienie diagnostyczno-terapeutyczne w dotychczasowym postępowaniu, szczególnie w leczeniu trudnych kamieni w obrębie dróg żółciowych.
- W opinii ekspertów klinicznych, oceniana technologia powinna być finansowana ze środków publicznych w ramach leczenia szpitalnego.

Uwaga Rady

Rada zwraca uwagę, że świadczenie powinno być przeprowadzone zgodnie z warunkami realizacji przedstawionymi w raporcie analitycznym AOTMiT.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: WS.420.4.2025 „Świadczenie diagnostyczno-lecznicze dróg żółciowych/trzustkowych z zastosowaniem systemu do bezpośredniej wizualizacji” Ocena zasadności kwalifikacji jako świadczenia gwarantowanego z zakresu leczenia szpitalnego; data ukończenia: 07.08.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 140/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu
lekowego B.128.FM „Leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową
(AHP) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat (ICD-10: E80.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w ramach programu lekowego B.128.FM „Leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową (AHP) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat (ICD-10: E80.2)”.

Uzasadnienie

Zaproponowane zmiany w ramach programu lekowego B.128.FM obejmują:

- *zmiany w kryteriach kwalifikacji do programu, m.in. dodano zapis „adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiającą w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii” oraz zapis „brak przeciwwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL)” – zmiana nie wpływa na proces leczenia w ramach PL;*
- *modyfikację zapisu dot. kwalifikacji do PL pacjentów, którzy byli leczeni w ramach innego sposobu finansowania terapii poprzez dodanie informacji: „za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku” – standaryzacja ogólnych zapisów w PL, zmiana nie wpływa na proces leczenia w ramach PL;*
- *usunięcie kryteriów stanowiących przeciwwskazania do włączenia do programu, a w ich miejsce dodanie zapisu „Do programu włączane są pacjentki, bez konieczności ponownej kwalifikacji po zweryfikowaniu ich ogólnego stanu zdrowia umożliwiającego leczenie w programie, które zostały wyłączone wcześniej z programu w związku z ciężką albo laktacją i które w momencie wyłączenia spełniały pozostałe kryteria przedłużenia leczenia” – usunięte przeciwwskazania zawierają się w nowych kryteriach kwalifikacji i wyłączenia, nowe zapisy dot. ciąży i karmienia wprowadzają możliwość czasowego zawieszenia udziału w PL, pozostałe zmiany nie wpływają na proces leczenia w ramach PL;*
- *zmianę zapisu dot. czasu trwania leczenia z „Leczenie powinno trwać do czasu wystąpienia niemożliwej do zaakceptowania toksyczności lub braku*

skuteczności terapii” na „Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia” – zmiany wprowadziły mniej precyzyjną definicję zakończenia leczenia, warunkując decyzją lekarza lub ZK;

- wprowadzenie zmiany w kryteriach wyłączenia z programu: usunięto m.in. zapisy „eGFR <15ml/min/1,73m² przy zastosowaniu wzoru MDRD”, „zakażenie HIV, HCV lub HBV”, „zapalenie trzustki”, a dodano zapisy „znaczną progresję choroby pojawiającą się pomimo leczenia”, „wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania”, „obecność chorób lub stanów klinicznych, które w ocenie lekarza prowadzącego lub Zespołu Koordynującego mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy” – usunięte kryteria wyłączenia zawierają się w nowych kryteriach kwalifikacji i wyłączenia, zmiany nie wpływają na proces leczenia w ramach PL.

Wprowadzone zmiany mają charakter redakcyjny i porządkujący. Ujednolicają zapisy, rozszerzają zakres decyzji pozostawionych lekarzowi prowadzącemu lub Zespołowi Koordynującemu oraz umożliwiają większą elastyczność w badaniach przeprowadzanych na etapie kwalifikacji pacjentów do programu.

Dodatkowo wprowadzono techniczny zapis, umożliwiający zawieszanie pacjenta w programie na czas ciąży i karmienia. Pozostałe zmiany nie wpływają na sam proces leczenia w ramach programu lekowego.

Główne argumenty decyzji:

- Zaproponowane zmiany są zgodne zapisami międzynarodowych wytycznych klinicznych i/lub kryteriami włączenia/wyłączenia do opublikowanych badań klinicznych produktu leczniczego Givlaari (giwosyran sodowy);
- Zaproponowane zmiany nie będą generowały dodatkowych kosztów z perspektywy płatnika publicznego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.41.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.128.FM. »Leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową (AHP) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat (ICD-10: E80.2)«”; data ukończenia: 6 sierpnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 141/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej dzieci i młodzieży w mieście Żyrardów na lata
2026-2028”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej dzieci i młodzieży w mieście Żyrardów na lata 2026-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Wnioskodawca odniósł się do rozległego problemu zdrowotnego, jakim jest niepełnosprawność. W treści projektu wskazano, że w populacji dzieci i młodzieży „najpowszechniejsze są wady postawy oraz niepełnosprawności narządu ruchu, takie jak uszkodzenia i braki w anatomicznej strukturze narządu ruchu, zaburzenia czynności motorycznych, czy deformacja narządów ruchu”. Zaplanowano interwencję skierowaną do mieszkańców miasta Żyrardów w wieku 7-17 lat z rozpoznaniem wady postawy i/lub niepełnosprawności narządu ruchu w zakresie działań rehabilitacyjnych i edukacyjnych. Szacuje się, że program obejmie ok. 180 osób, co stanowi ok. 5,3% populacji docelowej. Adresatem programu są także rodzice/opiekunowie prawni dzieci i młodzieży w zakresie działań edukacyjnych – przewidziano ok. 180 osób.

Głównym założeniem projektu programu jest „uzyskanie poprawy stanu funkcjonalnego w każdym z obszarów, dla których w wykonanych testach wykryto zaburzenia funkcjonalne układu ruchu, u co najmniej 20% uczestników programu - dzieci i nastolatków z miasta Żyrardów, dotkniętych problemem wad postawy i/lub niepełnosprawnością narządu ruchu, poprzez kompleksowe działania edukacyjne i rehabilitacyjne prowadzone na terenie miasta w latach 2026-2028”. Wnioskodawca zaplanował następujące działania:

- wizyta fizjoterapeutyczna początkowa,*
- indywidualny plan rehabilitacyjny,*
- działania edukacyjne,*
- wizyta fizjoterapeutyczna końcowa.*

Koszty całkowite oszacowano na 163 860 zł, a finansującym ma być miasto Żyrardów.

Należy także zaznaczyć, że opiniowano już podobny projekt programu, przygotowany przez miasto Żyrardów – projekt programu pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej dzieci i młodzieży w mieście Żyrardów na lata 2023-2025”. Prezes AOTMiT wydał wtedy opinię pozytywną warunkowo nr 45/2022 z dnia 12 sierpnia 2022 r. W obecnie procedowanym dokumencie wnioskodawca w przeważającej większości uwzględnił uwagi, które zgłoszono do poprzedniego Programu.

Zaproponowany Program spełnia wymogi oraz wychodzi naprzeciw potrzebom zdrowotnym miasta Żyrardów. Stwierdzone, pewne drobne, nieprawidłowości powinny zostać skorygowane przed rozpoczęciem realizacji przedmiotowego PPZ. Poniżej uwagi Rady wskazujące stwierdzone drobne nieprawidłowości.

Uwagi Rady:

- *Cele i mierniki:*
 - W treści programu nie określono przykładowych testów ani skal oceny, co uniemożliwia weryfikację zasadności przyjętych narzędzi pomiaru;
 - Nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej;
 - W odniesieniu do celów szczegółowych wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych.
- *Populacja i Interwencja:*
 - Nie załączono wzorów pre-testu przed edukacją oraz post-testu po edukacji, zatem nie było możliwości ich weryfikacji.
- *Budżet:*
 - W tabeli kosztów dla lat 2027 i 2028 występuje niespójność pomiędzy wskazaną ceną jednostkową a całkowitym kosztem indywidualnego planu rehabilitacyjnego.

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.431.64.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej dzieci i młodzieży w mieście Żyrardów na lata 2026-2028” realizowany przez: Miasto Żyrardów; data ukończenia: sierpień 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 142/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Powiatu Lubańskiego na lata
2026-2028”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Powiatu Lubańskiego na lata 2026-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez powiat lubański. Populację docelową stanowią mieszkańcy powiatu lubańskiego w wieku 60 lat i więcej z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby układu nerwowego. W ramach realizacji PPZ zaplanowano kompleksową rehabilitację, uwzględniającą wizytę lekarską, indywidualny plan rehabilitacyjny oraz działania edukacyjne.

Wnioskodawca odniósł się do sytuacji epidemiologicznej, przedstawiając dane światowe, ogólnopolskie, regionalne i lokalne. Wskazano m.in., że „liczba osób cierpiących na dolegliwości ze strony układu kostno-stawowego i mięśniowego w roku 2021 na całym świecie przekraczała 1,7 mld., a dolegliwości bólowe w tej grupie były głównie konsekwencją zaburzeń w obrębie odcinka lędźwiowo-krzyżowego kręgosłupa oraz zwyrodnień stawów”.

Problem zdrowotny/epidemiologia

W projekcie przedstawiono także dane regionalne dla województwa dolnośląskiego oraz lokalne dla powiatu lubańskiego. Odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) (pozyskane z Bazy Analiz Systemowych i Wdrożeniowych) wskazując, że w Polsce wskaźnik chorobowości w rehabilitacji ogólnej wyniósł 8 785 porad na 100 tys. mieszkańców, natomiast w województwie dolnośląskim – 7 483/100 tys., a na terenie powiatu lubańskiego – 5 581/100 tys. Zgodnie ze wskazanymi przez wnioskodawcę danymi w analizowanym okresie udzielono w Polsce ponad 1,7 mln rehabilitacyjnych porad lekarskich (4 508/100 tys. mieszkańców), w województwie dolnośląskim było to ponad 87,7 tys. porad (3 048/100 tys.; 10. miejsce w kraju), a w powiecie lubańskim – 357 porad (694/100 tys.). Ponadto

zrealizowano w Polsce 5,6 mln wizyt fizjoterapeutycznych (15 081/100 tys. mieszkańców), w województwie dolnośląskim – ponad 310,9 tys. wizyt (10 799/100 tys.; 16. miejsce w kraju), a w powiecie lubańskim – 2 489 wizyt (2 896/100 tys.; przedostatnie miejsce w województwie). Wskazano także, że w powiecie lubańskim wykonano około 244,5 tys. zabiegów fizjoterapeutycznych (475 581/100 tys.), co jest wartością znacznie niższą niż średnia krajowa (263,2 mln zabiegów – 699 523/100 tys.) oraz wojewódzka (16,9 mln – 587 246/100 tys.; ostatnie miejsce w kraju).

Cele i mierniki efektywności

Głównym założeniem projektu programu jest „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie powiatu w latach 2026- 2028”.

Wskazano również 2 cele szczegółowe, tj. „utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób układu nerwowego oraz chorób układu ruchu u co najmniej 60% osób z populacji docelowej w latach 2026-2028” oraz „poprawa sprawności aparatu artykulacyjnego, oddechowego i fonacyjnego u co najmniej 30% uczestników programu korzystających z terapii neurologopedycznej”.

W projekcie programu zaproponowano 3 mierniki efektywności: (1) „odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami (wyniki skali VAS - różnica pomiędzy wartością uzyskaną w pierwszym oraz ostatnim dniu otrzymywania świadczeń w programie)”, (2) „odsetek osób, u których w postępie odnotowano taki sam wysoki poziom wiedzy względem pre-testu (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub wzrost poziomu wiedzy o co najmniej 20% względem pre-testu” oraz (3) „odsetek osób, u których w teście funkcjonalnym wykonanym na ostatniej wizycie w ramach terapii neurologopedycznej odnotowano poprawę w zakresie sprawności aparatu artykulacyjnego, oddechowego i fonacyjnego, w porównaniu do wyników testu na pierwszej wizycie”.

Monitorowanie i ewaluacja

Zgodnie z treścią projektu, ocena zgłaszalności do programu będzie dokonywana na podstawie analizy „liczby osób uczestniczących w wizytach lekarskich”, „liczby osób uczestniczących w kompleksowej rehabilitacji leczniczej”, „liczby osób uczestniczących w działaniach edukacyjnych”, „liczby osób, które ukończyły pełen cykl rehabilitacyjny” oraz „liczby osób, które zrezygnowały z udziału w programie

na poszczególnych etapach jego trwania wraz z analizą przyczyn tych decyzji”. Przedstawione w projekcie wskaźniki monitorowania zostały prawidłowo sformułowane.

W zakresie oceny jakości świadczeń, wnioskodawca zaplanował analizę wyników ankiety satysfakcji uczestników PPZ oraz ewentualnych pisemnych uwag przekazywanych do realizatora programu. Do projektu załączono wzór ww. ankiety.

Ewaluacja programu przeprowadzona zostanie z wykorzystaniem zdefiniowanych wcześniej mierników efektywności.

Budżet programu

W ramach kosztów jednostkowych określono: 1 400 zł/os. – koszt uczestnictwa w programie, w tym: 250 zł – koszt wizyty lekarskiej, 1 100 zł – koszt indywidualnego planu rehabilitacyjnego (średni koszt 10-dniowej rehabilitacji), 50 zł – koszt działań edukacyjnych, 8 345,35 zł/mies. – wynagrodzenie dla koordynatora (1 etat), 58 255,80 zł/rok – akcja informacyjna.

Koszt całkowity programu oszacowano na 3 499 200 zł.

Uwagi Rady:

Uszczegółowić uzasadnienie dla przyjętej wartości celu głównego i celów szczegółowych.

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.431.65.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Powiatu Lubańskiego na lata 2026-2028” realizowany przez: Powiat Lubański; data ukończenia: sierpień 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 143/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
o projekcie programu polityki zdrowotnej „Zapobieganie chorobom
przenoszonych drogą płciową pn. Dobrostan Wrocławskich
Studentów” (m. Wrocław)

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Zapobieganie chorobom przenoszonych drogą płciową pn. Dobrostan Wrocławskich Studentów” (m. Wrocław).

Uzasadnienie

Program odnosi się do ważnego problemu zdrowotnego, który nie jest w planowy sposób rozwiązywany na poziomie krajowym.

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ z zakresu zapobiegania i wczesnego wykrywania infekcji przenoszonych drogą płciową (ang. sexually transmitted infections, STI) w populacji studentów wrocławskich, mieszkających na stałe we Wrocławiu. Program został zaplanowany w sześciu modułach: moduł I – kampania informacyjno-edukacyjna; moduł II – nabór uczestników do programu; moduł III – edukacja online i stacjonarna; moduł IV – interwencje edukacyjne, profilaktyczne i diagnostyczne w zakresie zdrowia seksualnego (w tym konsultacje specjalistyczne z lekarzem chorób zakaźnych, wenerologiem lub dermatologiem, indywidualna edukacja zdrowotna, psychoedukacja, badania laboratoryjne w kierunku STI oraz konsultacje podsumowujące); moduł V – konkurs dla studentów na kreację artystyczną dotyczącą zapobiegania STI oraz moduł VI – monitorowanie i ewaluacja programu. Okres realizacji programu został zaplanowany na 2025 r. Koszt całkowity programu oszacowano na 372 000 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu miasta Wrocławia.

W treści PPZ wskazano, że STI to szeroka grupa chorób bakteryjnych, wirusowych i pasożytniczych. W projekcie programu przedstawiono sytuację epidemiologiczną korespondującą z wybranym problemem zdrowotnym. Odniesiono się do danych światowych oraz ogólnopolskich, ale nie lokalnych. Wnioskodawca zaznaczył, że „w Polsce obserwuje się obecnie największy od lat wzrost zakażeń HIV i innych chorób przenoszonych drogą płciową”.

W projekcie opisano populację docelową, jednak istnieją nieścisłości w zakresie liczebności populacji, która weźmie udział w poszczególnych interwencjach.

Kryteria włączenia i wyłączenia powinny być lepiej doprecyzowane. W planach przedstawiono schemat i warunki realizacji PPZ, zaplanowano przeprowadzenie akcji informacyjnej, zapewniono, że realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert, przedstawiono koszty jednostkowe i całkowite. Jednakże istnieją nieprawidłowości związane z określeniem celu głównego (zbyt ogólny) oraz celów szczegółowych (cel nr 2). W kryteriach kwalifikacji (kryteria włączenia i wyłączenia) nie odniesiono się do kwestii statusu studenta oraz nie przedstawiono ww. kryteriów w stosunku do każdej z interwencji. Biorąc pod uwagę zaplanowane interwencje, nie wskazano szczegółów w zakresie działań, które mają zostać podjęte podczas pozyskiwania wsparcia wśród pracowników ochrony zdrowia.

Nie jest do końca jasne, czy działania edukacyjne (15 spotkań po 120 min każde) będą realizowane w formie stacjonarnej czy zdalnej. Wnioskodawca uwzględnił omówienie wyników i przekazanie informacji w zakresie dalszego postępowania w ramach NFZ przy pierwszej konsultacji, przed realizacją interwencji diagnostycznych. W ramach kosztów jednostkowych realizacji programu wskazano pozycję pn. „Indywidualna edukacja zdrowotna/psychoedukacja”, co może sugerować, że interwencje te będą wdrażane wśród uczestników zamiennie, jednak kwestii tej nie doprecyzowano w projekcie. Ocena efektywności programu przeprowadzona zostanie z wykorzystaniem zdefiniowanych wcześniej mierników efektywności odpowiadających celom programu, które jednak nie zostały zaplanowane w sposób prawidłowy. W związku z powyższym, przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności może okazać się utrudnione.

Główne argumenty decyzji:

- Nieprawidłowości w zakresie określenia celów realizacji PPZ;
- Brak precyzyjnego określenia kryteriów włączenia i wyłączenia z udziału w programie, w szczególności w odniesieniu do poszczególnych interwencji;
- Nieprawidłowości w zakresie zaplanowanych interwencji (głównie niespójność w zakresie dalszego postępowania w ramach NFZ przed realizacją interwencji diagnostycznych).

Uwagi Rady:

Konieczne jest:

- precyzyjne określenie kryteriów włączenia i wyłączenia do poszczególnych modułów (od III do IV);
- rozróżnienie interwencji realizowanych w ramach programu i w ramach NFZ.

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.431.63.2025 „Zapobieganie chorobom przenoszonym drogą płciową pn. „Dobrostan Wrocławskich Studentów” realizowany przez: Miasto Wrocław, data ukończenia: sierpień 2025 oraz Raportu nr: OT.423.4.2019 „Profilaktyka przewlekłych zakażeń HCV i HBV u osób dorosłych” z lutego 2020 r. oraz Aktualizacją Raportu nr: OT.434.3.2025 „Profilaktyka przewlekłych zakażeń HCV i HBV u osób dorosłych” z kwietnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 144/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży
w Gminie Besko na lata 2025-2030”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Besko na lata 2025- 2030”.

Uzasadnienie

Przedkładany program kierowany jest w założeniu wnioskodawcy do następujących grup:

- młodzież w wieku 11-18 lat zamieszkująca na terenie gminy Besko, uczęszczająca do publicznej szkoły podstawowej lub ponadpodstawowej (ok. 675 osób w zakresie badań przesiewowych oraz ok. 100 osób w zakresie terapii zaburzeń nastroju);*
- młodzież w wieku 11-15 lat zamieszkująca na terenie gminy Besko, uczęszczająca do publicznej szkoły podstawowej (ok. 480 osób w zakresie działań edukacyjnych);*
- rodzice/opiekunowie prawni nastolatków (ok. 480 osób w zakresie działań edukacyjnych);*
- kadra pedagogiczna (nauczyciele-wychowawcy klas IV-VIII szkoły podstawowej oraz specjaliści: pedagodzy, psychologowie oraz logopedzi w publicznej szkole podstawowej, zlokalizowanej na terenie gminy Besko) (ok. 30 osób w zakresie szkoleń).*

Wnioskodawca zaproponował liczne działania, w tym przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej skierowanej do populacji ogólnej nt. profilaktyki zaburzeń nastroju. Przedmiotem działań mają być także szkolenia on-line z zakresu zaburzeń depresyjnych dla kadry pedagogicznej w wymiarze 4 godz. edukacyjnych. Wskazano, iż będzie to jedno szkolenie w pierwszym roku realizacji PPZ dla maks. 35-osobowej grupy. Ponadto założono realizację edukacji zdrowotnej (psychoedukacja) rodziców/opiekunów prawnych – po jednym spotkaniu on-line w każdym roku realizacji, w wymiarze 2 godz. edukacyjnych, łącznie 5 spotkań, a także edukację zdrowotną kierowaną do nastolatków, która

będzie prowadzona przez przeszkolony wcześniej personel w ramach lekcji wychowawczych. Na to działanie przewidziano dwa spotkania po 45 minut w każdym roku szkolnym w klasach IV-VIII szkoły podstawowej.

Kolejnym zaplanowanym działaniem jest przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku zaburzeń depresyjnych. Tu wnioskodawca założył, że populację będą stanowili nastolatki w wieku 11-18 lat. Do badania zostanie użyty kwestionariusz samooceny umożliwiający ocenę profilu i nasilenia objawów depresyjnych, np. kwestionariusz CDI 2.

Finalnie uwzględniono przeprowadzenie terapii zaburzeń nastroju w schemacie dwunastu spotkań, po 50 minut, raz w tygodniu. Te terapie mają objąć nastolatków wyłonionych w ramach badań przesiewowych.

Wnioskodawca oszacował koszty programu. Koszt całkowity programu oszacowany został na 275 000 zł w następującym podziale: 57 300 zł w 2025 r. oraz 54 300 zł rocznie w latach 2025-2030. Jako źródła finansowania wskazano gminę Besko, ale wnioskodawca zakłada także uzyskanie ewentualnego dofinansowania ze środków NFZ.

Pomimo, że działania w kierunku wczesnego wykrywania problemów psychicznych w populacji dzieci i młodzieży są niezmiernie istotne, a problem narasta, to w tym przypadku stwierdzone nieprawidłowości nie pozwalają na pozytywne zaopiniowanie zaproponowanego programu. Poniżej Rada przedstawia, z podziałem na obszary, stwierdzone nieprawidłowości, które nie pozwalają na wydanie opinii pozytywnej.

Cele i mierniki efektywności:

Nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej celu głównego. Nie załączono wzoru testu wiedzy dla populacji uczestników sesji terapeutycznych.

Nie zaproponowano celów szczegółowych odnoszących się do części interwencji (m.in. działań edukacyjnych dla nastolatków w wieku 11-15 lat i ich rodziców/opiekunów prawnych). Nie przedstawiono uzasadnienia dla wartości docelowych.

Interwencje:

Nie zaplanowano pomiaru poziomu wiedzy w populacji nastolatków oraz ich rodziców/opiekunów prawnych, dla których zaplanowano działania edukacyjne.

Działania edukacyjne grupowe zaplanowane zostały dla nastolatków w wieku 11-15 lat, nie obejmą zatem części młodzieży, dla której zaplanowano badania przesiewowe i udział w terapii zaburzeń nastroju, tj. młodzieży w wieku 11-18 lat.

Nie załączono wzorów pre- i post- testów służących do oceny poziomu wiedzy uczestników terapii zaburzeń nastroju.

Wskazano różne nurty terapeutyczne, które różnią się założeniami i czasem trwania (np. CBT vs. terapia psychoanalityczna). Jednocześnie zaplanowano stałą liczbę 12 sesji, co – wobec różnic między podejściami – wydaje się nieprecyzyjne.

Ewaluacja:

W załączonym do projektu sprawozdaniu (załącznik 3) w części dotyczącej ewaluacji jeden wskaźnik odnosi się bardziej do monitorowania.

Budżet:

Nie oszacowano kosztów przeprowadzenia 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 uwzględnieniem raportu nr: OT.431.66.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania depresji w populacji młodzieży w Gminie Besko na lata 2025-2030” realizowany przez: Gminę Besko; data ukończenia: sierpień 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 145/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną rytuksymab w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie chorych z toczeniem rumieniowatym układowym

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną rytuksymab w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. w ramach programu lekowego B.150 „Leczenie chorych z toczeniem rumieniowatym układowym (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Toczeń rumieniowaty układowy (SLE) to choroba przewlekła o wieloczynnikowej etiologii, rozwijająca się na podłożu autoimmunologicznym, prowadząca do przewlekłego zapalenia oraz dysfunkcji wielu układów i narządów, w tym stawów, mięśni, skóry, nerek, układu sercowo-naczyniowego, ośrodkowego układu nerwowego, układu krwiotwórczego oraz układu krzepnięcia.

Zapadalność na SLE na świecie w badaniach waha się od ok. 0,5 do >30 przypadków /100 tys. osób rocznie. Kobiety chorują 6–10-krotnie częściej niż mężczyźni.

Rada Przejrzystości pozytywnie zaopiniowała w 2019 roku zasadność finansowania ze środków publicznych, w ramach ratunkowego dostępu do technologii lekowych, leku MabThera (rituximab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji 10 mg/ml (4 fiołki à 50 ml), we wskazaniu: toczeń rumieniowaty układowy z zajęciem narządów (ICD-10: M32.1), wskazując na korzystne wyniki badań oraz zalecany rytuksymab w rekomendacjach EULAR i BSR (w przypadku postaci SLE odpornej na inne leki immunosupresyjne powinno się rozważyć stosowanie rytuksymabu lub belimumabu).

Dowody naukowe

W wyniku przeprowadzonego przeglądu do analizy włączono nw. badania:

- 2 badania RCT: LUNAR (Rovin 2012), EXPLORER (Merrill 2010, Merrill 2011);
- 1 badanie rzeczywistej praktyki Terrier 2010.

Badanie RCT LUNAR

Zgodnie z wynikami badania, w 52. tygodniu wskaźniki odpowiedzi nerek nie różniły się statystycznie między grupami RTX i PLC ($p=0,55$). CRR wyniósł odpowiednio 26,4% i 30,6% w grupach RTX i PLC. Wskaźnik PRR wynosił znacząco więcej w grupie badanej niż kontrolnej, odpowiednio 30,6% i 15,3%. Ogólny odsetek odpowiedzi nerek na leczenie wynosił odpowiednio 56,9% w grupie rytuksymabu i 45,8% w grupie placebo ($p=0,18$). W przypadku drugorzędowych punktów końcowych nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic między grupami rytuksymabu i placebo.

Średni spadek punktacji w skali BILAG po 52 tygodniach obserwacji, względem wartości początkowej wyniósł dla RTX -8,5 ($SD \pm 7,8$) oraz -8,6 ($SD \pm 5,14$) dla PLC ($p=0,93$). Zmiana punktacji w zakresie funkcji fizycznych formularza SF-36 od wartości wyjściowej do 52. tygodnia wyniosła 4,8 ($SD \pm 10,4$) w grupie rytuksymabu oraz 5,7 ($SD \pm 9,4$) w grupie placebo.

Badanie RCT EXPLORER (Merrill 2010)

W 52 tygodniu nie odnotowano żadnej różnicy dla całkowitych odpowiedzi klinicznych lub częściowych odpowiedzi klinicznych między grupą rytuksymabu (12,4% z MCR i 17,2% z PCR), a grupą placebo (15,9% z MCR i 12,5% z PCR). Ogólny odsetek odpowiedzi wyniósł odpowiednio 29,6% i 28,4%. Wśród pacjentów z MCR, u których dawkę prednizonu zmniejszono do <10 mg/dobę od 24. do 52. tygodnia, było 9 pacjentów (10,2%) w grupie placebo i 14 pacjentów (8,3%) w grupie rytuksymabu.

Średni spadek punktacji w skali BILAG po 52 tygodniach obserwacji, względem wartości początkowej wyniósł dla RTX -5,8 ($SD 4,0$) oraz -5,9 ($SD 4,5$) dla PLC ($p=0,8092$). Odsetek pacjentów z wynikiem BILAG C lub lepszym we wszystkich domenach w pierwszych 24 tygodniach był podobny w grupie rytuksymabu (24,9%; 95% CI 18,3-31,4) i w grupie placebo (27,3%; 95% CI 18,0-36,6) [$p=0,5602$].

Badanie rzeczywistej praktyki Terrier 2010

Po 6 ($SD \pm 3$) miesiącach po infuzji RTX całkowitą odpowiedź zaobserwowano u 87 z 113 pacjentów (77%) zgodnie z oceną lekarza prowadzącego pacjenta i u 80 z 113 pacjentów (71%) w ocenie SELENA-SLEDAI (zmniejszenie wyniku ≥ 3). Średni wynik SELENA-SLEDAI $\pm SD$ i średnia dawka prednizonu $\pm SD$ zmniejszyły się odpowiednio z $10,8 \pm 8,8$ do $3,4 \pm 5,2$ ($p 0,0001$) i z $30,3 \pm 23,6$ mg/dzień do $12,3 \pm 10,1$ mg/dzień ($p<0,0001$).

Wśród pacjentów, którzy odpowiedzieli na leczenie białkomocz zmniejszył się średnio ($\pm$ SD) z 3,5 ($\pm$ 2,7) g/dzień do 0,6 ($\pm$ 0,9) g/dzień ($P < 0,0001$), podczas gdy średni poziom kreatyniny w surowicy pozostał stabilny 9,2 ($\pm$ 6,2) mg/litr w porównaniu z 7,7 ($\pm$ 3,0) mg/litr po 6 miesiącach. U pacjentów z AIHA, którzy odpowiedzieli na leczenie, średni poziom hemoglobiny ($\pm$ SD) wzrósł z 8,5 ($\pm$ 1,4) g/dl do 13,0 ($\pm$ 1,4) g/dl po 6 miesiącach ($P = 0,001$), a średnia liczba płytek krwi wzrosła z 49 ($\pm$ 29) $\times 10^9$ /litr do 199 ($\pm$ 98) $\times 10^9$ /litr ($P = 0,0005$).

Włączono dwa dokumenty wytycznych dotyczące ogólnych zaleceń terapeutycznych u pacjentów z toczniem rumieniowatym układowym: europejskie EULAR 2023 (The European Alliance of Associations for Rheumatology) oraz podsumowanie wytycznych amerykański ACR 2025 (American College of Rheumatology, pełna wersja wytycznych zostanie opublikowana na koniec 2025 r.).

Wytyczne EULAR rekomendują zastosowanie rytuksymabu (RTX) w przypadkach odpornej na leczenie choroby (poziom dowodu: 2b, siła rekomendacji: C) oraz jako jedną z alternatyw w leczeniu ciężkiej autoimmunologicznej małopłytkowości, również w leczeniu podtrzymującym (poziom dowodu: 2b, siła rekomendacji: B). Ponadto możliwość stosowania RTX wymieniono (nie sformułowane jako rekomendacje) w przypadku leczenia aktywnej postaci skórnej, aktywnej choroby neuropsychiatrycznej przypisywanej TRU, nerkowej postaci TRU.

W podsumowaniu ACR 2025 wskazuje się warunkowe zalecenia (na podstawie dowodów na poziomie bardzo niskim lub niskim) zastosowania terapii anty-CD20 (w tym RTX) w przypadkach TRU z objawami: hematologicznymi (małopłytkowość, autoimmunologiczna niedokrwistość hemolityczna), ciężkich zespołów neuropsychiatrycznych, ciężkiego tocznia pęcherzowego opornego na leczenie miejscowe, zapalenia naczyń spowodowanym aktywnym TRU, czy ostrego i/lub pogarszającego się zapalenia mięśnia sercowego wywołanego toczniem.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania w dniu 05.08.2025 r. nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania rytuksymabu w leczeniu SLE.

Zgodnie z oszacowaniami wielkość populacji leczonej rytuksymabem w ramach PL B.150 wyniesie ok. 90 pacjentów, a roczny koszt stosowania rytuksymabu we wnioskowanej populacji to kilka milionów zł w zależności od przyjętego wariantu populacyjnego. Głównym czynnikiem kosztotwórczym jest refundacja RTX, a następnie – wzrost kosztów kwalifikacji, monitorowania i podania leku.

Główne argumenty decyzji

- Brak zaleceń praktyki klinicznej oraz rekomendacji refundacyjnych we wnioskowanym wskazaniu;

- *Zaspokojona potrzeba zdrowotna w ramach dostępnego leczenia systemowego;*
- *Niska jakość dowodów naukowych.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.8.2025 „Rytuksymab w programie lekowym: B.150 Leczenie chorych z toczeniem rumieniowatym układowym (TRU, SLE) (ICD-10: M32)”; data ukończenia 7 sierpnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 146/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
rytuksymab w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. leczenie pacjentów z chorobą
śródmiąższową płuc

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną rytuksymab w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. w ramach programu lekowego B.135. „Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Śródmiąższowa choroba płuc (ILD, ang. interstitial lung disease) to choroba wynikająca z uszkodzenia komórek otaczających pęcherzyki płucne, co prowadzi do uogólnionego zapalenia, bliznowacenia oraz włóknienia płuc. ILD występuje u części pacjentów w przebiegu ponad 200 jednostek chorobowych o znanej lub nieznannej etiologii.

Choroba przebiegająca z włóknieniem o fenotypie postępującym (PF-ILD, ang. progressive fibrosing interstitial lung disease) może występować u części pacjentów w przebiegu różnych chorób podstawowych, m.in. w przebiegu układowych autoimmunologicznych chorób reumatycznych (SARD-ILD, ang. systemic autoimmune rheumatic disease), w tym twardziny układowej (SSc, ang. systemic sclerosis)

Brak poprzednich opinii Rady Przejrzystości we wnioskowanym wskazaniu.

Dowody naukowe

Istnieją cztery metaanalizy badań oceniających skuteczność rytuksymabu w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc związanej z chorobami tkanki łącznej (CTD-ILD), w tym w przebiegu twardziny układowej (SSc), oraz jedno randomizowane badanie kliniczne (Maher 2023). Dwie metaanalizy (Wang 2022 i Xing 2021) koncentrowały się na porównaniu rytuksymabu z terapią

konwencjonalną u pacjentów z CTD-ILD, a pozostałe dwie (Jang 2025 i Marcea 2024) dotyczyły wyłącznie populacji z SSc-ILD.

Do metaanalizy Wang 2022 włączono 16 badań oceniających FVC% i 13 badań analizujących DLCO%. Wśród trzech randomizowanych badań klinicznych wykazano istotny statystycznie spadek FVC% po leczeniu RTX (MD: -5,24; 95% CI: -9,94 do -0,54; $p = 0,029$). Z kolei zmiana DLCO% nie osiągnęła poziomu istotności (MD: 1,15; $p = 0,681$). W badaniach obserwacyjnych również odnotowano statystycznie istotne pogorszenie zarówno FVC% (MD: -1,24; $p = 0,030$), jak i DLCO% (MD: -7,71; $p = 0,014$) po leczeniu RTX. Co więcej, analiza czasowa sugerowała progresywny spadek obu wskaźników czynności płuc w kolejnych latach terapii, szczególnie po upływie dwóch lat.

Natomiast w metaanalizie Xing 2021 średnia poprawa FVC% była istotnie większa w grupie leczonej RTX niż w grupie kontrolnej – różnica wynosiła 5,40% (95% CI: 3,73 do 7,08; $p < 0,00001$), a heterogeniczność między badaniami była bardzo niska ($I^2 = 0\%$). Zmiany w wartościach DLCO% w grupie RTX nie różniły się IS od grupy kontrolnej (MD: -2,22; $p = 0,35$). Dodatkowo, metaanaliza trzech badań wykazała, że rytuksymab przynosił istotne korzyści w zakresie zmniejszenia skórniego wskaźnika mRSS – różnica wynosiła -3,97 (95% CI: -7,07 do -0,87; $p = 0,01$), bez istotnej heterogeniczności ($I^2 = 0\%$).

W badaniu RCT RECITAL (Maher 2023) nie zaobserwowano różnic w FVC% oraz DLCO% w grupie leczonej rytuksymabem i cyclofosamidem u pacjentów ze śródmiąższową chorobą płuc w przebiegu chorób tkanki łącznej.

W metaanalizie Jang 2025 wykazano, że rytuksymab istotnie ogranicza spadek FVC% u pacjentów z SSc-ILD w porównaniu z leczeniem konwencjonalnym (SMD 0,64; 95% CI: 0,03–1,25; $p = 0,04$). Metaanaliza nie wykazała istotnych różnic w zmianach DLCO ani w wartości mRSS między rytuksymabem a leczeniem konwencjonalnym.

W metaanalizie Macrea 2024 oceniono skuteczność i bezpieczeństwo rytuksymabu u pacjentów z SSc-ILD. Wykazano istotną statystycznie poprawę FVC% po 24 tygodniach oraz w okresie 24–48 tygodni leczenia w porównaniu z placebo (MD ok. 3%, $p < 0,05$), przekraczającą minimalnie istotną klinicznie różnicę (MCID). Rytuksymab powodował również istotną redukcję wartości mRSS po 24 i 24–28 tygodniach leczenia (MD około -7 do -8,5; $p < 0,01$), także przekraczającą próg MCID. Po 48 tygodniach nie stwierdzono istotnych różnic dla FVC% ani mRSS między grupami. Nie wykazano istotnych różnic w zmianach DLCO, radiologicznej progresji choroby ani w jakości życia ocenianej kwestionariuszami SF-36 i HAQ-DI.

W badaniu Wang 2022 oszacowano, że częstość działań niepożądanych związanych z rytuksymabem wynosiła około 30%, natomiast śmiertelność ogólna po leczeniu sięgała nieco ponad 11%. Infekcje, zwłaszcza dróg oddechowych oraz

układu moczowego, występowały z różną częstością, a leczenie rytuksymabem wiązało się także z występowaniem takich zdarzeń jak hipogammaglobulinemia, neutropenia czy reakcje surowicze.

W badaniu Xing 2021 porównującym rytuksymab z terapią konwencjonalną wykazano, że ryzyko infekcji i działań niepożądanych ze strony układu krwiotwórczego było istotnie niższe w grupie leczonej rytuksymabem, przy czym różnice w śmiertelności oraz reakcjach infuzyjnych nie były statystycznie istotne.

W metaanalizie Jang 2025 wykazano natomiast, że rytuksymab istotnie rzadziej powoduje leukopenię niż cyklofosfamid, a choć obserwowano tendencję do rzadszego występowania zapalenia płuc i zakażeń układu moczowego przy zastosowaniu rytuksymabu, nie osiągnięto w tych przypadkach istotności statystycznej.

Wyniki metaanalizy Macrea 2024 wskazują na akceptowalny profil bezpieczeństwa rytuksymabu, bez wzrostu ciężkich działań niepożądanych, co potwierdza jego miejsce jako skutecznej i bezpiecznej opcji terapeutycznej w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc związanej z chorobami tkanki łącznej.

Odnaleziono sześć dokumentów wytycznych klinicznych: dwa dotyczące postępowania w chorobach śródmiąższowych płuc przebiegających z włóknieniem: polskie (PTChP 2022) oraz amerykańskie (ACR/CHEST 2023), jeden dokument dotyczący leczenia śródmiąższowej choroby płuc w przebiegu twardziny układowej: amerykańskie (ATS 2024), dwa dotyczące postępowania w twardzinie układowej: europejskie (EULAR 2023) i brytyjskie (BSR 2024), a także jeden dokument dotyczący leczenia pacjentów z reumatoidalnym zapaleniem stawów, uwzględniający wytyczne leczenia śródmiąższowej choroby płuc w przebiegu RA (FSR 2024).

W odnalezionych wytycznych klinicznych mykofenolan mofetylu (MMF), wskazywany jest na lek pierwszego wyboru ze względu na korzystny profil bezpieczeństwa i umiarkowaną skuteczność. Cyklofosfamid stosowany jest głównie w cięższych lub szybko postępujących przypadkach, choć jego użycie wiąże się z większym ryzykiem działań niepożądanych. Tocilizumab, jako inhibitor IL-6, stanowi dodatkową opcję terapeutyczną u pacjentów z aktywnym procesem zapalnym. Ponadto, w terapii SSc-ILD zaleca się leki przeciwfibrotyczne, takie jak nintedanib oraz pirfenidon, które mogą spowalniać progresję zwłóknienia płuc.

Większość wytycznych zaleca stosowanie rytuksymabu jako skutecznej opcji terapeutycznej w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc w przebiegu twardziny układowej (SSc-ILD), szczególnie u pacjentów z aktywnym zapaleniem oraz progresją zmian płucnych.

W zaleceniach ACR/CHEST 2023 dotyczących leczenia śródmiąższowej choroby płuc związanej z chorobami autoimmunologicznymi (SARD-ILD) u pacjentów

z postępującą chorobą pomimo leczenia pierwszego rzutu warunkowo rekomenduje się zastosowanie mykofenolanu mofetylu, rytuksymabu, cyklofosfamidu lub nintedanibu jako opcji terapeutycznych. Rytuksymab w praktyce klinicznej stosowany jest najczęściej jako leczenie drugiego rzutu po nieskuteczności mykofenolanu mofetylu.

Europejskie zalecenia EULAR dotyczące leczenia śródmiąższowej choroby płuc w przebiegu twardziny układowej (SSc-ILD) rekomendują stosowanie mykofenolanu mofetylu, cyklofosfamidu lub rytuksymabu jako leczenia immunosupresyjnego. W przypadku progresji zmian śródmiąższowych zaleca się również nintedanib, samodzielnie lub w skojarzeniu z MMF, można też rozważyć tocilizumab.

Z kolei wytyczne ATS 2024 sugerują stosowanie rytuksymabu u pacjentów z SSc-ILD (zalecenie warunkowe, bardzo niska jakość dowodów), podkreślając jego potencjalną skuteczność pomimo ograniczonych danych.

Dodatkowo Polskie Towarzystwo Reumatologiczne (PTR) w 2025 roku wskazuje na konieczność refundacji rytuksymabu we wskazaniach off-label, tj. Stanowisko PTR dot. dostępu do innowacyjnego leczenia w chorobach reumatycznych (PTR 2025a) oraz Stanowisko PTR dot. potrzeby poszerzenia refundacji terapii stosowanych poza wskazaniami rejestracyjnymi (off-label) w chorobach reumatycznych (PTR 2025b). W dokumentach PTR wskazano na potrzebę rozszerzenia refundacji rytuksymabu o wskazania off-label, szczególnie w SLE i SSc-ILD, zgodnie z aktualną wiedzą i rekomendacjami.

W wyniku wyszukiwania odnaleziono walijskie rekomendacje refundacyjne z lat 2019-2024 (AWTTC 2019-2024) oraz rekomendację angielską NHS 2017.

Walijska agencja AWTTC w 2019 roku dopuściła zastosowanie rytuksymabu w leczeniu śródmiąższowej choroby płuc, ale jako terapię ratunkową i poza oficjalnym wskazaniem rejestracyjnym, pod warunkiem spełnienia określonych kryteriów klinicznych i po wyczerpaniu innych metod leczenia (jako opcja drugiego lub trzeciego rzutu). W latach 2020-2024 AWTTC podtrzymywała swoją pierwotną decyzję ze względu na brak nowych istotnych dowodów, które zmieniłyby wcześniejszą decyzję. Każdorazowo podkreślano ograniczenia dowodów i konieczność dalszej obserwacji wyników leczenia w codziennej praktyce klinicznej.

Natomiast NHS England uznało, że rytuksymab nie powinien być rutynowo finansowany w leczeniu choroby tkanki łącznej związanej ze śródmiąższową chorobą płuc przede wszystkim ze względu na niskiej jakości dowody, niepewność co do skuteczności i bezpieczeństwa oraz brak danych o opłacalności leczenia

Zgodnie z oszacowaniami wielkość rocznej populacji leczonej rytuksymabem w ramach PL B.135 wyniesie od 100 do 500 pacjentów. Zgodnie z oszacowaniami

roczny koszt stosowania rytuksymabu we wnioskowanej populacji to ok. kilka milionów zł w zależności od przyjętego wariantu populacyjnego.

Główne argumenty decyzji

- *Wytyczne towarzystw naukowych i opinie ekspertów;*
- *Niższe koszty finansowania rytuksymabu w ramach programu lekowego niż w ramach RDTL.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.9.2025 „Rytuksymab we wskazaniu pozarejestacyjnym: w ramach programu lekowego B.135. Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34); data ukończenia 7 sierpnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 147/2025 z dnia 11 sierpnia 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną tocilizumabum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną tocilizumabum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. w ramach programu lekowego B.135. „Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W Polsce na twardzinę układową choruje około 10 000 osób, natomiast w ciągu roku występuje 4–12 nowych zachorowań na milion mieszkańców.

Choroba śródmiąższowa płuc występuje u ok. 80% chorych na twardzinę układową. U wielu z nich może przebiegać łagodnie lub stabilnie i nie wymaga intensywnego leczenia. Terapię immunosupresyjną należy włączyć u 25–30% chorych ze śródmiąższową chorobą płuc, zwłaszcza we wczesnym, agresywnym okresie choroby, w przypadku progresji zmian w płucach oraz w zaawansowanej postaci choroby.

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego przeglądu odnaleziono przegląd systematyczny Ghazipura 2023, w którym uwzględniono wyniki badań faSScinate wraz z fazą przedłużoną (open-label), badanie focuSSced wraz z fazą przedłużoną (open-label) oraz analizą post-hoc.

Do najistotniejszych wyników w przeglądzie zaliczono śmiertelność oraz progresję choroby. Po 24 tygodniach nie stwierdzono istotnych różnic w śmiertelności pomiędzy grupą otrzymującą tocilizumab a grupą placebo (RR = 1,02; 95% CI: 0,07; 15,84). Podobne wyniki odnotowano po 48 tygodniach

(RR = 1,02; 95% CI: 0,12; 8,94) oraz w okresie 48–96 tygodni (RR = 0,96; 95% CI: 0,14; 6,68).

Progresję choroby oceniano na podstawie zmian w czynności płuc oraz pośrednio przy użyciu zmodyfikowanej skali Rodnana (mRSS). W porównaniu z placebo, spadek FVC względem wartości wyjściowej był mniejszy w grupie tocilizumabu po 24 tygodniach (MD = 118 ml; 95% CI: 31–205 ml), 48 tygodniach (MD = 241 ml; 95% CI: 124; 358 ml) oraz 96 tygodniach (faza open-label) (MD = 129 ml; 95% CI: 110; 141 ml). Podobne wyniki uzyskano dla odsetka szacowanej FVC — mniejszy spadek w grupie tocilizumabu dla średniej zmiany od wartości wyjściowej do 48 tygodnia (MD = 6,50%; 95% CI: 3,40; 9,50%) oraz mediany zmiany (różnica median = 3,40%; 95% CI: 0,40; 5,60%). Różnice te spełniały minimalne klinicznie istotne zmiany (MCID), co wskazuje na znaczenie kliniczne. Po 96 tygodniach różnica średniej zmiany FVC% nie była istotna statystycznie (MD = 1,75%; CI: -1,66; 5,16%; $I^2 = 99,5\%$), grupa placebo również otrzymywała tocilizumab.

W zakresie zmiany mRSS względem wartości wyjściowej odnotowane różnice nie były istotne statystycznie dla okresu obserwacji wynoszącego 48 tyg. (MD = -1,57; 95% CI: -3,82; 0,69;) oraz 96 tyg. (MD = -0,20; 95% CI: -0,54; 0,15).

Obserwowano istotne statystycznie różnice na korzyść TOC w porównaniu do PLC w zakresie ryzyka spadku FVC% o $\geq 10\%$ - było mniejsze w grupie tocilizumabu (RR = 0,34; CI: 0,13; 0,88), natomiast ryzyko wzrostu FVC% było niemal dwukrotnie wyższe (RR = 1,97; CI: 1,14; 3,42) po 48 tygodniach. Nie stwierdzono istotnych różnic po 96 tygodniach (faza open-label).

Również na korzyść TOC wskazywały wyniki w zakresie wskaźników QILD5 (wskaźnik do oceny całkowitego zaawansowania zmian śródmiąższowych w płucach ang. Quantitative Interstitial Lung Disease) oraz QLF6 (wskaźnik ilościowy określający stopień włóknienia miąższu płucnego, ang. Quantitative Lung Fibrosis). Ocena jakości życia na podstawie kwestionariuszy pacjentów wskazywała na brak istotnych statystycznie różnic dla okresu obserwacji wynoszącego 48 tygodni (faza zaślepienia).

Stosowanie TOC wiązało się z akceptowalnym profilem bezpieczeństwa. Różnice na niekorzyść TOC obejmowały reakcje w miejscu wstrzyknięcia (MD = 10,20; CI: 8,71; 11,69) oraz reakcje nadwrażliwości niezwiązanych z miejscem wstrzyknięcia (MD = 6,80; CI: 5,46; 8,14) na 100 pacjento-lat w okresie 48–96 tygodni.

W wytycznych wskazano, iż tocilizumab należy rozważyć jako opcję leczenia w 1. lub 2. linii. Należy także zwrócić uwagę, iż zalecenia były warunkowe (ACR 2023), bądź oparte na dowodach niższej jakości w porównaniu do pozostałych interwencji (EULAR 2024). W wytycznych brytyjskich (BSR 2024) w ramach pierwszej linii TOC jest zalecany do stosowania w przypadku

uogólnionej postaci twardziny układowej, natomiast w ramach drugiej linii został wymieniony obok rytuksymabu jako jedna z opcji ratunkowych w ramach terapii immunomodulującej.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla tocilizumabu w analizowanym wskazaniu.

Wyniki przeprowadzonych oszacowań wskazują na dodatkowe coroczne wydatki płatnika publicznego w wysokości od kilku do kilkunastu milionów złotych, przy uwzględnieniu liczebności populacji na podstawie zakresu wskazanego przez ankietowanych ekspertów klinicznych.

Główne argumenty decyzji

- *Dowody naukowe niskiej jakości;*
- *Jedynie warunkowe zalecenia w wytycznych klinicznych;*
- *Brak refundacji leku w innych państwach UE.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OT.422.1.10.2025 „Tocilizumab we wskazaniu pozarejestacyjnym: w ramach programu lekowego B.135. „Leczenie pacjentów z chorobą śródmiąższową płuc (ICD-10: D86, J67.0-J67.9, J84.1, J84.8, J84.9, J99.0, J99.1, M34); data ukończenia: 7 sierpnia 2025 r.