



BP.401.27.2025.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 41/2025
w dniu 29 września 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 09:59.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Katarzyna Galas
5. Paweł Grzesiewski
6. Maciej Karaszewski
7. Marcin Kołakowski
8. Jacek Rubik
9. Anna Socha-Banasiak
10. Aleksandra Zasada

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Givlaari (givosiranum) 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)”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobów medycznych:
 - a) jednorazowe systemy do podciśnieniowej terapii leczenia ran (NPWT),
 - b) systemy kontrlateralnego przekazywania sygnału (CROS),
 - c) lampa grzebieniowa UVB,
 - d) monitory oddechu dziecka z pulsoksymetrem,
 - e) pikflometry,
 - f) system wykrywania napadów epileptycznych,

- g) ciśnieniomierze naramienne mówiące w języku polskim,
 - h) termometry mówiące w języku polskim.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) - tislelizumab w I linii NDRP w skojarzeniu z chemioterapią [RATIONALE 307 Study (BGB-A317-307)].
 5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) - tislelizumab w kolejnej linii leczenia [RATIONALE-303 study (BGB-A317-303)].
 6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) - tislelizumab w I linii NDRP w skojarzeniu z chemioterapią z PD-L1 $\geq$ 50% [RATIONALE-304 study (BGB-A317-304)].
 7. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. leku Givlaari.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Anna Socha-Banasiak i Artur Bachta, a przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasiak, Katarzyna Galas, Marcin Kołakowski i Aleksandra Zasada.

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

Ad 3. Analitycy Agencji przedstawili prezentacje dot. ocenianych wyrobów medycznych.

a) Głos w dyskusji Rady zabrali: Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała, Artur Bachta, Jacek Rubik, Aleksandra Zasada i Marcin Kołakowski, a projekt opinii Rady dot. NPWT przedstawił Artur Bachta.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Małgorzata Bała i Artur Bachta.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

b) Projekt opinii Rady dot. systemów CROS przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Małgorzata Bała, Anna Czerniecka-Kubicka i Katarzyna Galas.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

c) Głos zabrał Maciej Karaszewski, a projekt opinii Rady dot. lamp UVB przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

d) Głos zabrali Aleksandra Zasada i Maciej Karaszewski, a projekt opinii Rady dot. monitorów oddechu przedstawił Jacek Rubik.

W dalszej części dyskusji Rady uczestniczyli: Marcin Kołakowski, Małgorzata Bała, Jacek Rubik i Maciej Karaszewski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Rada zdecydowała o zmianie kolejności omawiania wyrobów medycznych – nowa kolejność: systemy wykrywania napadów epileptycznych, pikflometry, ciśnieniomierze naramienne mówiące w języku polskim i termometry mówiące w języku polskim.

f) Projekt opinii Rady dot. systemów wykrywania napadów epileptycznych przedstawił Maciej Karaszewski.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski, Jacek Rubik i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Posiedzenie opuścił Maciej Karaszewski.

e) Projekt opinii Rady dot. pikflometrów przedstawił Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Małgorzata Bała i Jacek Rubik.

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

g) Głos zabrała Małgorzata Bała, z projekt opinii Rady dot. ciśnieniomierzy przedstawił Paweł Grzesiewski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Małgorzata Bała, Paweł Grzesiewski i Jacek Rubik.

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

h) Projekt opinii Rady dot. termometrów przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Aleksandra Zasada, Marcin Kołakowski, Małgorzata Bała, Jacek Rubik i Anna Socha-Banasiak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie odnoszące się do leku Tevimbra (I linia leczenia).

Głos zabrali Katarzyna Galas i Małgorzata Bała, a projekt stanowiska Rady przedstawili Aleksandra Zasada i Marcin Kołakowski.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, uczestniczyli: Katarzyna Galas, Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie odnoszące się do leku Tevimbra (kolejne linie leczenia).

Projekt stanowiska Rady przygotowali Marcin Kołakowski i Katarzyna Galas, a przedstawił Marcin Kołakowski.

Głos zabrała Małgorzata Bała, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji omówił najważniejsze kwestie odnoszące się do leku Tevimbra (I linia leczenia - PD-L1 $\geq$ 50%).

Projekt stanowiska Rady przedstawiły Katarzyna Galas i Aleksandra Zasada.

Na posiedzenie powrócił
Maciej Karaszewski.

Głos zabrali: Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski i Katarzyna Galas, po czym prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 7. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:39.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 122/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie oceny Givlaari (givosiranum) 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 objęcie refundacją produktu leczniczego Givlaari (givosiranum), roztwór do wstrzykiwań, 189 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 08720165814046, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową (AHP) u dorosłych i młodzieży w wiek od 12 lat (ICD-10: E80.2)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia ceny i pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Givlaari we wskazaniu: leczenie chorych na ostrą porfirię wątrobową (ang. acute hepatic porphyria, AHP) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat (ICD-10: E80.2). Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Givlaari jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Ostre porfirie wątrobowe są chorobami zależnymi od wrodzonych błędów metabolicznych biosyntezy hemu ujawniającymi się w klinicznej postaci pod wpływem działania różnorodnych czynników egzogennych i endogennych. Wyróżniamy cztery typy ostrych porfiri: ostrą przerywaną porfirię (AIP- Acute Intermittent Porphyria), porfirię mieszaną (VP – Variegate Porphyria), dziedziczną koproporię (HCP – Hereditary Coproporphyria) i porfirię z niedoboru ALA-dehydratazy (ALADP - ALA Dehydratase Deficiency Porphyria). Zespół objawów występujący w ostrych porfiriach może sugerować zupełnie inną jednostkę chorobową, a różnorodność objawów prowadzi często do niewłaściwych rozpoznań i późniejszego leczenia lekami nasilającymi atak porfiri. Śmiertelność w pełnoobjawowym ataku choroby sięga około 10%. Wczesna, nawet niepełna diagnoza ma znaczenie rokownicze i pozwala uniknąć leczenia objawowego

(często lekami szkodliwymi), niepotrzebnych laparotomii zwiadowczych prowadzących do rozwoju pełno objawowego ciężkiego napadu choroby. Porfiria jest chorobą często pomijaną w diagnostyce różnicowej bólów brzucha, chorób psychicznych czy też nietypowych polineuropatii. Porfirie, ze względu na różnorodną symptomatologię, nie należą do żadnej specjalności medycznej. Rzeczywista częstość występowania porfirii w Polsce nie jest znana. Na podstawie badań Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie (IHIT) możemy w przybliżeniu określić, że na porfirię w Polsce choruje około 4000-5000 osób. U większości osób z objawową postacią AIP występuje zaledwie kilka ataków w ciągu życia, jednak u około 3%–8% choroba ma charakter nawrotowy. Givosyran jest dwuniciowym interferującym kwasem rybonukleinowym (ang. small interfering ribonucleic acid, siRNA), który w mechanizmie interferencji RNA powoduje w hepatocytach rozpad matrycowego kwasu rybonukleinowego (mRNA) syntazy kwasu aminolewulinowego typu 1 (ang. aminolevulinic acid synthase 1, ALAS1), co prowadzi do zmniejszenia ilości indukowanego wątrobowego mRNA ALAS1 w kierunku prawidłowego poziomu. Skutkiem tego jest zmniejszenie stężenia we krwi neurotoksycznych produktów pośrednich, mianowicie kwasu aminolewulinowego (ang. aminolevulinic acid, ALA) i porfobilinogenu (ang. porphobilinogen) — kluczowych czynników przyczynowych napadów i innych objawów chorobowych AHP.

Alternatywne technologie medyczne stosowane w ostrej porfirii wątrobowej obejmują dożylnie podawanie heminy jako podstawa leczenia ataków i narzędzie profilaktyki, wlewy glukozy jako postępowanie wspomagające, leczenie objawowe dostosowane do obrazu klinicznego, a także analogi GnRH u wybranych pacjentek i przeszczepienie wątroby w sytuacjach oporności na inne metody.

Dowody naukowe

Badanie ENVISION, prowadzone metodą podwójnie ślepej próby przez okres 6 miesięcy, oceniało skuteczność givosyranu (Givlaari) w porównaniu z placebo u pacjentów z ostrą porfirią przerywaną (AIP). Givosyran istotnie redukował roczną częstość napadów porfirii (AAR) w porównaniu ze standardowym leczeniem— o 74% u pacjentów z AIP i o 73% w populacji ogólnej pacjentów z AHP. Efekt ten utrzymywał się przez 12 miesięcy i był spójny dla wszystkich składowych punktu końcowego oraz we wszystkich analizowanych podgrupach pacjentów, niezależnie od cech demograficznych, klinicznych i wcześniejszego leczenia. Podczas terapii givosyranem odnotowano korzystne efekty zdrowotne również w zakresie zmian stężenia ALA i PBG w moczu. W obu punktach końcowych wykazano istotną statystycznie przewagę givosyranu nad leczeniem wspomagającym (BSC) w okresie 6 miesięcy. W 6. miesiącu leczenia pacjenci otrzymujący ocenianą technologię wykazywali większą poprawę wyniku PCS w skali SF-12 w porównaniu z grupą BSC. Wyniki terapeutyczne utrzymywały

się również po zakończeniu fazy podwójnie zaślepionej, co świadczy o trwałości efektu interwencji. Co więcej, poprawę zaobserwowano także u pacjentów, którzy początkowo znajdowali się w grupie kontrolnej, a następnie przeszli do ramienia leczonego givosyranem. Dane te znajdują potwierdzenie w rzeczywistej praktyce klinicznej (Kubisch 2024 oraz Guida 2024), w której również obserwowano porównywalną skuteczność terapii.

W badaniu ENVISION (faza III) zdarzenia niepożądane wystąpiły u 89,6% pacjentów leczonych givosyranem i u 80,4% otrzymujących placebo. Ciężkie zdarzenia niepożądane odnotowano u 20,8% pacjentów w grupie givosyranu, bez dominacji konkretnego typu.

Profil bezpieczeństwa uznaje się za dobrze udokumentowany, a tolerancję za ogólnie dobrą. Istotnym ograniczeniem pozostaje jednak brak długoterminowych danych dotyczących bezpieczeństwa terapii. W kontekście przewlekłego charakteru porfirii wątrobowej i konieczności ciągłego stosowania leku, stanowi to istotną niepewność w ocenie pełnego profilu ryzyka.

Stosowanie givosyranu w profilaktyce porfirii wątrobowej jest zgodne z wytycznymi (AGA 2023, Idiaquez 2024).

Problem ekonomiczny

Rekomendacje refundacyjne

Istnieje niepewność związana z oszacowaną w ramach analizy prognozowaną liczbą pacjentów, którzy będą stosować givosyran w przypadku jego dalszej refundacji ze środków publicznych. W przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o kontynuacji finansowania givosyranu ze środków publicznych nastąpi [] wydatków płatnika publicznego o około [] zł w 1. roku, [] zł w 2. roku oraz około [] zł w 3. roku (z uwzględnieniem RSS).

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 1 rekomendację pozytywną oraz 4 rekomendacje pozytywne warunkowo.

Rekomendowane warunki objęcia technologii refundacją obejmują zawężenie populacji do dorosłych pacjentów (HAS) lub określają konkretną liczbę napadów porfirii, których musi doświadczyć pacjent w ciągu roku, aby kwalifikować się do leczenia produktem Givlaari (NICE, HAS, CDA-AMC).

Główne argumenty decyzji:

- Konieczność kontynuacji leczenia pacjentów objętych już tą terapią,
- Leczenie zgodne z wytycznymi klinicznymi,
- Ograniczona wartość badań naukowych (brak bezpośrednich danych klinicznych dla niewystępujących w badaniu grup wiekowych oraz pacjentów z rzadkimi podtypami AHP istotnie ogranicza możliwość wiarygodnej ekstrapolacji wyników),
- Nieznany długofalowy profil bezpieczeństwa,

- *Wysoka cena i istotny wpływ na zwiększenie wydatków dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), 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: DIPOTM.423.1.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Givlaari (givosiranum) we wskazaniu: zgodnym z zapisami 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: 18 września 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Medison Pharma sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Medison Pharma sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 907)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)²⁾.

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Medison Pharma sp. z o.o.

¹ podstawa prawna zakreśleń danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)

² podstawa prawna zakreśleń w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 174/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
jednorazowe systemy do podciśnieniowej terapii leczenia ran (NPWT)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego jednorazowe systemy do podciśnieniowej terapii leczenia ran (NPWT).

Uzasadnienie

Problem ran przewlekłych w ostatnich latach wyrasta niewątpliwie na jeden z cywilizacyjnych wyzwań medycznych. Związany jest ściśle z występowaniem innych chorób cywilizacyjnych (jak cukrzyca, niewydolność krążenia, miażdżyca, otyłość); występowaniem wielochorobowości, starzeniem się społeczeństwa, przewlekłym unieruchomieniem.

Stosowanie systemów podciśnieniowych w terapii leczenia ran przewlekłych jest jedną z najskuteczniejszych obecnie dostępnych metod leczenia, w przypadkach, w których standardowe metody nie przynoszą poprawy.

Refundacja systemów jednorazowych do terapii domowej może znacznie zmniejszyć obciążenie systemu opieki stacjonarnej, zmniejszyć koszty wtórne związane z leczeniem ran przewlekłych (np. koszty antybiotykoterapii, hospitalizacji, opieki i pielęgnacji pacjentów).

Uwagi Rady:

- *Kryteria przyznawania refundacji powinny obejmować wszystkie długo gojące się rany (powyżej 4 tygodni leczenia standardowego), pod warunkiem kwalifikacji i ścisłej kontroli ambulatoryjnej leczenia przez lekarza specjalistę odpowiedniej specjalizacji zabiegowej.*
- *Opatrunki powinny być refundowane w ilości adekwatnej do czasu trwania terapii.*

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: DOWM.422.1.2025 „Jednorazowe systemy do podciśnieniowej terapii leczenia ran (NPWT)”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 175/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
systemy kontrlateralnego przekazywania sygnału (CROS)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobów medycznych: systemy kontrlateralnego przekazywania sygnału (CROS) oraz systemy obuusznego przekazywania sygnału (BiCROS) w populacji osób dorosłych.

Uzasadnienie

Przedmiotem niniejszego zlecenia jest analiza zasadności objęcia refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie (Dz. U. z 2024 r. poz. 500, z późn. zm.) systemów kontrlateralnego przekazywania sygnału (CROS) oraz system obuusznego przekazywania sygnału (BiCROS).

Przedmiotem zlecenia są wyłącznie nadajniki do systemów przekazywania sygnału: kontrlateralnego (CROS) oraz obuusznego (BiCROS). Zlecenie nie obejmuje odbiorników ani pełnych zestawów (nadajnik–odbiornik); funkcję odbiornika ma pełnić aparat słuchowy już stosowany przez pacjenta.

Niedosłuch to ubytek słuchu, który polega na nieprawidłowym przewodzeniu lub odbiorze dźwięków. Ubytek słuchu dzieli się na przewodzeniowy, odbiorczy oraz mieszany, z czego najczęstszy jest odbiorczy, wynikający z uszkodzenia ucha wewnętrznego, nerwu słuchowego lub ośrodkowego układu nerwowego. Przyczyny obejmują wady wrodzone, starcze pogorszenie słuchu, urazy, choroby autoimmunologiczne, ototoksyczność oraz narażenie na hałas. Jednostronny ubytek słuchu (UHL) to prawidłowy słuch w jednym uchu i niedosłuch w drugim, natomiast asymetryczny ubytek (AHL) oznacza różnicę progów słuchowych między uszami ≥ 15 dB wg AAO-HNS. WHO definiuje głęboki ubytek słuchu (w tym głuchotę) jako próg ≥ 81 dB. Diagnostyka opiera się na pełnej ocenie audiometrycznej oraz badaniach uzupełniających, a leczenie dostosowane jest do etiologii i stopnia ubytku, obejmując aparaty słuchowe, implanty ślimakowe i terapię farmakologiczną. Utrata słuchu jest powszechnym problemem

zdrowotnym, którego częstość wyraźnie rośnie z wiekiem, od 3% u osób 21–34 lata do 43% u osób 65–84 lata.

Systemy kontrlateralnego przekazywania sygnału CROS i system obustronnego kontrlateralnego przekazywania sygnału BiCROS są przeznaczone dla osób z jednostronnym ubytkiem słuchu, przy zachowanej normie słuchu w uchu przeciwnym (CROS) lub niedosłuchu w uchu przeciwnym (BiCROS). Systemy te są dedykowane dla pacjentów, u których stwierdzono brak korzyści z tradycyjnego aparatu słuchowego na uchu z niedosłuchem.

Systemy CROS/BiCROS składają się z aparatu słuchowego umieszczonego po stronie lepiej słyszącej oraz nadajnika CROS lub BiCROS umieszczonego po stronie ucha z głębokim niedosłuchem. Systemy te wykrywają i przekazują dźwięki z ucha z niedosłuchem do ucha lepiej słyszącego, poprawiając lokalizację dźwięku i zrozumiałość mowy, zwłaszcza w hałasie, gdzie tradycyjne aparaty zawodzą.

Wskazanie do stosowania CROS stanowi niesymetryczny lub głęboki jednostronny ubytek słuchu, z wyłączeniem jednoczesnego zaopatrzenia w system BiCROS. Wskazanie do stosowania BiCROS obejmuje niesymetryczny ubytek słuchu (asymetria ≥ 50 dB), z wyłączeniem jednoczesnego zaopatrzenia w system CROS. Systemy klasyfikowane są jako wyroby medyczne klasy IIa, wymagające profesjonalnego dopasowania przez audiologów oraz specjalistów protetyki słuchu. Do typowych działań niepożądanych należą podrażnienia ucha, szumy uszne czy uczucie zatkania. CROS powinien być stosowany u pacjentów z dobrą reakcją na przewodnictwo powietrzne.

Przeszukano rekomendacje i wytyczne praktyki klinicznej dotyczące zastosowania systemów CROS/BiCROS. Do opracowania włączono wytyczne siedmiu organizacji: PTOCGS 2011, Skarżyński 2011, AAA 2013, AAA 2015, CSHBC 2016, CODEPEH 2020, CEHLICI 2021, NICE 2023.

W przypadku dzieci z SSD (jednostronną głuchotą, ang. Single-Sided Deafness), stosowanie systemów CROS nie jest rekomendowane ze względu na brak umiejętności pacjenta w manipulowaniu otoczeniem w sposób zapewniający dotarcie optymalnego sygnału do zdrowego ucha (CODEPEH 2020), poza przypadkiem występowania ciężkiego lub głębokiego SSD (AAA 2013). W warunkach szkolnych zaleca się wykorzystanie systemów FM (modulacji częstotliwości fal) z bezprzewodowym mikrofonem odbiorczym połączonym z otwartym, dobrze słyszącym uchem (AAA 2013).

Ogólne wytyczne zalecają w pierwszej kolejności wykluczenie zatrzymanej woskowiny usznej oraz ostrej infekcji u pacjentów po raz pierwszy doświadczających trudności ze słuchem lub u których podejrzewa się występowanie takich trudności (NICE 2023). Aparaty słuchowe powinny być oferowane dorosłym pacjentom, u których utrata słuchu wpływa na zdolność komunikacji i słyszenia (NICE 2023). Część wytycznych rekomenduje stosowanie

systemów BAHA (słuchowych implantów zakotwiczonych w kości) u pacjentów z SSD (PTOCGS 2011, CSHBC 2011), inne wskazują na potrzebę terapii systemami CROS (CEHLICI 2021). Wskazaniem do stosowania systemów CROS są dobre reakcje pacjenta na przewodnictwo powietrzne oraz utrata słuchu związana z wiekiem (AAA 2015). Dla pacjentów cierpiących na SSD, u których prawdopodobne jest pogorszenie się słuchu w uchu lepiej słyszającym, zalecane jest stosowanie systemu BiCROS (AAA 2015, CEHLICI 2021).

Konsultanci Krajowi ds. otorynolaryngologii dziecięcej oraz ds. audiologii i foniatrii pozytywnie oceniają zasadność wprowadzenia refundacji systemów CROS i BiCROS. Podkreślają, że rozwiązania te są niezbędne dla pacjentów z jednostronną głuchotą lub asymetrycznym głębokim niedosłuchem, u których tradycyjne aparaty słuchowe są nieskuteczne.

W wyniku systematycznego wyszukiwania zidentyfikowano dwa przeglądy systematyczne (Appachi 2017, Romano 2024) oceniające skuteczność systemu CROS u dzieci z jednostronnym ubytkiem słuchu. W populacji dorosłych odnaleziono jeden przegląd systematyczny (Peters 2015) oraz trzy badania kliniczne z randomizacją (CINGLE, Mertens 2018, Fogels 2020) oceniające system CROS w leczeniu pacjentów z jednostronnym ubytkiem słuchu.

Jakość włączonych przeglądów systematycznych, została określona jako krytycznie niska lub niska, natomiast badania z randomizacją cechowały się wysokim ryzykiem błędu systematycznego. W przypadku dzieci w PS Appachi 2017 uwzględniono dwa badania kohortowe, z kolei do PS Romano 2024 włączono jedno badanie prospektywne bez grupy kontrolnej - bardzo niski poziom dowodów naukowych.

W populacji pediatrycznej System CROS vs brak aparatu może poprawiać wyniki słuchowe w łatwiejszych warunkach akustycznych ocenianych przy użyciu testu BKB (Bamford-Kowal-Bench), gdy mowa i hałas dochodzą z tej samej strony (93% z CROS vs 32% bez aparatu; vs 93% z systemem FM) lub mowa jest słyszana w linii środkowej (przed pacjentem), a hałas z wielu stron (85% z CROS vs 32% bez aparatu słuchowego; vs 93% z systemem FM). Nie odnotowano różnic istotnych statystycznie między systemem FM i CROS. Jednak w sytuacjach bardziej wymagających, gdy mowa i hałas dochodzą z tego samego kierunku, stosowanie systemu CROS wiązało się z pogorszeniem wyników dotyczących rozumienia mowy (48% z CROS vs 97% bez aparatu; vs 90% z systemem FM). Ponadto, w badaniu Updike 1994 włączonym do powyższego przeglądu wykazano, że zastosowanie aparatów CROS może pogarszać rozpoznawanie słów w warunkach hałasu (SR Appachi 2017). System CROS sprzyja poprawie w podskali komunikacji społecznej u dzieci ocenianej przy użyciu kwestionariusza KNISE-ABC po 6 miesiącach (SR Romano 2024).

W populacji dorosłych, systemy CROS i BCD (aparaty słuchowe z funkcją przewodnictwa kostnego) zapewniają zbliżone efekty w zakresie rozumienia

mowy w hałasie, lokalizacji dźwięku oraz jakości życia. W niektórych konfiguracjach, zwłaszcza gdy mowa dochodziła od strony lepiej słyszącego ucha, a szum od strony gorszego, system CROS wykazywał istotnie statystycznie lepsze wyniki w porównaniu z BCD. W domenach kwestionariusza APHAB odnoszących się do łatwości komunikacji, słuchania w hałasie otoczenia odnotowano polepszenie wyników w obu grupach (CROS, BCD) w porównaniu z grupą bez urządzenia. Autorzy nie odnieśli się jednak do istotności statystycznej wyników. Systemy CROS i BCD nie różnią się istotnie pod względem wpływu na jakość życia związaną ze słuchem, zarówno w ocenie ogólnej, jak i w poszczególnych domenach kwestionariuszy HUI3 oraz SSQ (SR Peters 2015). Skuteczność systemu CROS zależy od kierunku dochodzenia mowy i hałasu do ucha. System CROS istotnie statystycznie poprawia rozumienie mowy w hałasie w porównaniu z BCD przede wszystkim, gdy sygnał mowy dochodzi do ucha gorzej słyszącego. Jednocześnie jego skuteczność jest ograniczona względem systemu mikrofonu zdalnego (RM) np. gdy hałas dochodzi do lepiej słyszącego ucha lub gdy mowa dochodzi do gorzej słyszącego ucha (RCT Fogels 2020). System CROS poprawia rozumienia mowy, gdy mowa pochodziła od strony gorzej słyszącego ucha, a hałas od lepiej słyszącego ucha (RCT Mertens 2018). System CROS znacząco poprawia funkcje słuchowe w codziennych sytuacjach mierzone z wykorzystaniem kwestionariusza SSQ12 w tym m.in. rozumienie mowy w hałasie, rozmów grupowych, rozróżnianie głosów i dźwięków (RCT Fogels 2020). Pacjenci korzystający z CROS uzyskali wyższe wyniki w podskali „mowa” kwestionariusza SSQ w porównaniu z okresem próbnym z BCD (RCT CINGLE).

System CROS, oceniany kwestionariuszem APHAB, wykazał istotną poprawę względem wartości wyjściowych w zakresie łatwości komunikacji i rozumienia mowy w hałasie (RCT Fogels 2020). W grupach CROS i BCD odnotowano znaczną poprawę po obu okresach próbnych we wszystkich podskalach APHAB w porównaniu z wartościami wyjściowymi. Dodatkowo u pacjentów wybierających system CROS stwierdzono istotną statystycznie większą poprawę rozumienia mowy w szumie otoczenia i w warunkach pogłosu w porównaniu z BCD (RCT CINGLE). Pacjenci, którzy wybrali CROS, uzyskali istotnie większą poprawę ogólnej jakości życia ocenianej w skali GBI w porównaniu z BCD. Nie zaobserwowano istotnych różnic w podskalach dotyczących wsparcia społecznego i zdrowia fizycznego (RCT CINGLE). Satysfakcja z używania urządzeń, oceniana kwestionariuszem APSQ, była istotnie wyższa dla systemu CROS niż dla BCD, szczególnie w zakresie poczucia niezależności, możliwości prowadzenia aktywnego trybu życia, uczestnictwa w aktywnościach kulturalnych i społecznych oraz ogólnej satysfakcji (RCT Mertens 2018).

W Niemczech aparaty słuchowe standardowo są refundowane do limitu 704,73 euro; jeśli u pacjenta ubytek słuchu graniczy z głuchotą, limit jest

podnoszony do 734,81 euro. Dodatkową ryczałtową dopłatę posiadają aparaty otwarte z drenami i kopułkami i dopasowanie słuchawki. Jeśli aparat posiada funkcję redukcji szumów usznych, opłaty stałe również są wyższe od standardowych (Verbraucherzentrale 2025).

Według szacunków Ministerstwa Zdrowia, populacja spełniająca kryteria przyznania ocenianych wyrobów medycznych (CROS/BiCROS) obejmuje ponad 8 tys. dorosłych oraz około 50 dzieci, a przewidywany koszt refundacji dla NFZ wynosi około 11,5 mln zł rocznie.

Główne argumenty decyzji:

- Wytyczne kliniczne zalecają stosowanie takich urządzeń u dorosłych;
- Odpowiednia diagnoza i rehabilitacja są kluczowe dla poprawy komunikacji i integracji społecznej osób dotkniętych niedosłuchem;
- Badania skuteczności i bezpieczeństwa wykazują, że efektywność systemu CROS zależy od kierunku, z którego dochodzi mowa i hałas;
- Odbiorniki systemu CROS są objęte refundacją w kilku krajach europejskich.

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: DOWM.422.3.2025 „Systemy kontrlateralnego / obuusznego przekazywania sygnału (CROS/BiCROS)”; data ukończenia 25.09.2025 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 176/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
lampa grzebieniowa UVB**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego lampa grzebieniowa UVB.

Uzasadnienie

Przedmiotem niniejszego zlecenia jest analiza zasadności objęcia refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie (Dz. U. z 2024 r. poz. 500, z późn. zm.) lamp grzebieniowych UVB w populacji pacjentów z miejscowo ograniczoną łuszczycą o nasileniu umiarkowanym lub dużym.

Łuszczycą (psoriasis) to przewlekła, niezakaźna choroba zapalna o podłożu ogólnoustrojowym, objawiająca się zmianami skórными wynikającymi z nadmiernego rogowacenia naskórka. Jej etiologia jest złożona i obejmuje czynniki genetyczne, immunologiczne oraz środowiskowe.

Lampa grzebieniowa UVB to wyrób medyczny emitujący promieniowanie UVB (najczęściej o długości fali 311 nm), przeznaczony do fototerapii w warunkach domowych. Umożliwia precyzyjne naświetlanie niewielkich obszarów skóry, szczególnie w trudno dostępnych miejscach, takich jak skóra głowy, okolice paznokci, pachy czy miejsca intymne. Może być stosowana u pacjentów z potwierdzoną skutecznością terapii UVB, po konsultacji z lekarzem dermatologiem. Terapia wymaga dostosowania dawki do fototypu skóry i regularnego monitorowania reakcji. Możliwe działania niepożądane to rumień, suchość skóry, świąd czy reakcje fototoksyczne.

Fototerapia UVB ogółem (niezależnie od warunków prowadzenia), w tym najczęściej obecnie stosowane wąskopasmowe UVB (NB-UVB, 311–313 nm), jest uznawana za skuteczną i bezpieczną metodę leczenia łuszczycy plackowatej i kropelkowej o nasileniu umiarkowanym i dużym zarówno u dorosłych, jak i dzieci. Stosuje się ją w przypadku niepowodzenia leczenia

miejscowego lub w niektórych sytuacjach klinicznych (np. ciąża, zakażenie HIV, WZW), jako leczenie pierwszego wyboru (PTD 2019, AAD NPF 2019, AAD NPF P 2019, DSS 2023, GRPso FSD 2024). Polskie wytyczne nie odnoszą się do fototerapii w warunkach domowych, jednak dopuszczają stosowanie naświetlań miejscowych w przypadku zmian ograniczonych, np. na dłoniach czy stopach (PTD 2019, PTD 2020).

Wytyczne brytyjskie (BAD BPG 2022) oraz amerykańskie (AAD NPF 2019, AAD NPF P 2019) dopuszczają stosowanie fototerapii NB-UVB w warunkach domowych jako alternatywy dla leczenia stacjonarnego, szczególnie u pacjentów z ograniczonym dostępem do placówek dermatologicznych. W takich przypadkach zaleca się wdrożenie odpowiedniego nadzoru, przeszkolenie pacjenta i regularną kontrolę urządzeń przez personel medyczny (BAD BPG 2022). Odnaleziono jeden przegląd systematyczny (Mosca 2021) oceniający skuteczność różnych metod leczenia łuszczycy skóry głowy, w tym leczenia miejscowego ogólnego i fototerapii, do którego włączono dwa badania dla oceny skuteczności lamp grzebieniowych UVB w populacji dorosłych pacjentów (badanie prospektywne kontrolne Taneja 2004 oraz RCT Braun 1998).

Zastosowanie lampy grzebieniowej, emitującej szerokopasmowe promieniowanie UVB (BB-UVB), trzy razy w tygodniu przez okres do 12 tygodni w porównaniu z brakiem leczenia skutkowało istotnym zmniejszeniem nasilenia zmian skórnych (poprawa wskaźnika mPASI o 3,6). Urządzenie było dobrze tolerowane, bez zgłaszanych działań niepożądanych (badanie prospektywne kontrolne Taneja 2004).

Wykazano, że fototerapia UVB stosowana pięć razy w tygodniu była równie skuteczna jak leczenie kortykosteroidami, a dodatkowo wiązała się z istotnie niższym odsetkiem nawrotów choroby (RCT Braun 1998).

W wyniku przeszukania odnaleziono informację o jednym kraju. Niemcy refundują lampy grzebieniowe UVB przeznaczone do użytku domowego w ramach ustawowego ubezpieczenia zdrowotnego (GKV). Zostały one sklasyfikowane w wykazie wyrobów medycznych jako urządzenia do naświetlania. Wskazaniem są miejscowo ograniczone, oporne na leczenie przypadki łuszczących się lub zapalnych i potencjalnie dysfunkcyjnych chorób skóry, które reagują na terapię UV, np. łuszczyca paznokci lub łuszczyca skóry głowy, atopowe zapalenie skóry. Przed wdrożeniem terapii domowej musi zostać przeprowadzona pozytywna próba leczenia UV pod nadzorem lekarza. Refundacja obejmuje dzieci i dorosłych, przy czym dorosłych obowiązuje 10% udziału własnego w kosztach urządzenia (min €5, max €10).

Analiza wpływu refundacji lamp grzebieniowych UVB na budżet została przeprowadzona z trzech perspektyw: płatnika publicznego, pacjenta oraz wspólnej. Oszacowania wykonano w scenariuszu inkrementalnym, zakładając, że obecnie stosowanie lamp UVB jest bardzo ograniczone. Populację docelową

stanowią dzieci powyżej 8. roku życia oraz dorośli z umiarkowaną lub ciężką łuszczycą. Jej liczebność oszacowano na podstawie danych epidemiologicznych i prognoz demograficznych. W scenariuszu najbardziej prawdopodobnym przyjęto arbitralnie, że z refundacji skorzysta 50% uprawnionych pacjentów.

W wariantach alternatywnych założono:

- wariant minimalny – 20% populacji,
- wariant maksymalny – 70% populacji.

Szacowana liczebność populacji docelowej waha się od 24,5 tys. do 91,7 tys. pacjentów rocznie. Koszty ograniczono do ceny lampy UVB, przy limicie finansowania 699 zł oraz udziale własnym pacjenta na poziomie 30% tego limitu. Koszty refundacji lamp grzebieniowych UVB z perspektywy płatnika publicznego, w zależności od założeń w zakresie wielkości populacji stosującej przedmiotowy wyrób medyczny, wyniosą:

- w wariantcie minimalnym: po 12 mln zł w roku I i II roku analizy,
- w wariantcie najbardziej prawdopodobnym: po 30 mln zł w I i II roku analizy,
- w wariantcie maksymalnym: 45 mln zł w I roku i w II roku analizy.

Zakładając, że średni koszt lamp grzebieniowych UVB wyniesie 1237 zł (oszacowanie na podstawie odnalezionych cen rynkowych) średni udział własny pacjenta w kosztach lampy wyniesie 748 zł.

Koszty lamp grzebieniowych UVB z perspektywy pacjenta wyniosą:

- w wariantcie minimalnym: 18,3 mln zł w roku I i II roku analizy,
- w wariantcie najbardziej prawdopodobnym: 45,7 mln zł w I i II roku analizy,
- w wariantcie maksymalnym: 68,5 mln zł w I roku i 68,6 mln zł w II roku analizy.

Główne argumenty decyzji:

- nie zidentyfikowano wytycznych klinicznych odnoszących się bezpośrednio do stosowania lamp grzebieniowych UVB w warunkach domowych w leczeniu łuszczycy;
- refundacja wyrobu medycznego do użytku domowego może wiązać się z ryzykiem nadużyć, np. wystawiania zleceń bez rzeczywistej potrzeby medycznej;
- brak mechanizmów nadzoru nad terapią w warunkach domowych;
- ogólnie duży wpływ na budżet 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: DOWM.422.4.2025 „Lampa grzebieniowa UVB”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 177/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
monitory oddechu dziecka z pulsoksymetrem

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego monitory oddechu dziecka z pulsoksymetrem.

Uzasadnienie

Problemem decyzyjnym jest analiza zasadności objęcia refundacją monitorów oddechu dziecka z pulsoksymetrem w populacji dzieci do ukończenia 1 r.ż. urodzonych jako wcześniaki, u których istnieje duże ryzyko nawracających epizodów: bezdechu lub bradykardii lub niedotlenienia.

Częstość występowania epizodów bezdechu wcześniaczego (AOP, ang. apnea of prematurity) jest tym większa, im wcześniej (wg wieku ciążowego) urodzone było dane dziecko; występuje on wśród 7% wcześniaków urodzonych między 34. a 35. tygodniem ciąży, 15% - między 32. a 33., 54% - między 30. a 31. oraz wśród niemal wszystkich dzieci urodzonych przed 29. tygodniem ciąży (lub o masie urodzeniowej < 1000 g). Bradykardia występuje u praktycznie wszystkich wcześniaków urodzonych przed 28. tygodniem ciąży i około 25% urodzonych przed 32. tygodniem. Występowanie bradykardii jest zbliżone częstością do AOP. Niedotlenienie obserwuje się u 60% niemowląt urodzonych przed 32. tygodniem ciąży.

Ocenianą technologią medyczną jest monitor oddechu dziecka z pulsoksymetrem. Monitory oddechu to urządzenia przeznaczone do wykrywania nieprawidłowości czynności serca tj. zbyt wolna (bradykardia), zbyt szybka (tachykardia) i oddechu, tj. brak oddechu/rytmu serca (bezdech).

Według wytycznych FDA monitor bezdechu powinien umożliwiać/posiadać m.in. co najmniej jeden podstawowy/bezpośredni sposób wykrywania bezdechu oraz co najmniej jeden dodatkowy/pośredni sposób wykrywania bezdechu. Podstawowa/bezpośrednia metoda wykrywania bezdechu powinna należeć do jednego z następujących typów: metody wykrywania wyłącznie bezdechu

centralnego; metody wykrywania zarówno bezdechu obturacyjnego, jak i centralnego, bez rozróżniania między nimi; metody wykrywania obu typów bezdechu i rozróżniania między nimi.

Nie zidentyfikowano dostępnych w Polsce monitorów oddechu z pulsoksymetrem przeznaczonych do stosowania w warunkach domowych u niemowląt z ryzykiem bezdechu/bradykardii/niedotlenienia i posiadających status wyrobu medycznego. Refundowane w Niemczech monitory oddechu (umożliwiające bezpośredni sposób wykrywania bezdechu) z pulsoksymetrem nie są dostępne w Polsce (brak lokalnego dystrybutora), można je natomiast zamówić za pomocą zagranicznych sklepów medycznych. Większość zidentyfikowanych produktów dostępnych w Polsce nie posiada statusu wyrobu medycznego. Natomiast zidentyfikowane urządzenia medyczne klasy II monitorujące saturację i tętno, zgodnie z informacją producenta, są odpowiednie do rutynowego nadzoru nad zdrowym dzieckiem w domu, nie są odpowiednie dla niemowląt i dzieci z utrzymującymi się problemami zdrowotnymi, nie należy ich używać do bezpośredniego diagnozowania lub leczenia jakichkolwiek schorzeń.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono włączono cztery wytyczne kliniczne (AAP 2022, WHO 2022, Piumelli 2017, UCSF NCNC 2018) oraz jeden konsensus ekspertów (Prezioso 2021).

Spośród pięciu przeanalizowanych wytycznych, w dwóch rekomendowane jest domowe monitorowanie niemowląt (Prezioso 2021, Piumelli 2017), w dwóch nie jest ono rutynowo zalecane (AAP 2022, UCSF NCNC 2018). Wytyczne WHO w kontekście opieki domowej wcześniaka po wypisie ze szpitala nie odnoszą się do domowego monitorowania, rekomendowane są natomiast m.in. wizyty domowe pracowników służby zdrowia i kangurowanie (WHO 2022).

Domowe monitorowanie niemowląt zalecane jest w przypadku niemowląt z grupy wysokiego ryzyka tj. historia SIDS (zespół nagłej śmierci niemowląt, ang. sudden infant death syndrome) w rodzinie, nawracające lub ciężkich epizody ALTE (widoczne zagrażające życiu zdarzenie, ang. apparent life-threatening event), wcześniactwo z historią ALTE (Prezioso 2021, Piumelli 2017). Urządzenia powinny monitorować czynność krążeniowo-oddechową (np. impedancje klatki piersiowej) i saturację tlenem. Odradza się stosowanie urządzeń reagujących na ruchy dziecka (Piumelli 2017).

Monitorowanie niemowląt w warunkach domowych nie jest rutynowo zalecane jako strategia zmniejszająca ryzyko SIDS oraz w przypadku bezdechu wcześniaków (AAP 2022, UCSF NCNC 2018). Wyjątkiem mogą być niemowlęta z określonymi zespołami genetycznymi, które mogą wymagać monitorowania (UCSF NCNC 2018).

Dowody naukowe

Nie zidentyfikowano badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa interwencji zgodnej ze zleceniem MZ/odpowiadającej ściśle zleceniu MZ,

tj. stosowanych w warunkach domowych monitorów oddechu umożliwiających bezpośrednio wykrywanie bezdechu i wyposażonych w pulsoksymetr. Do analizy dodatkowej włączono jedno badanie jakościowe oparte na wywiadach przeprowadzonych wśród rodziców niemowląt, w którym ocenianą interwencją były stosowane w warunkach domowych monitory pulsoksymetryczne (Ferro 2022) oraz retrospektywne badanie kliniczno-kontrolne, w którym oceniono ryzyko wystąpienia SIDS w zależności od użycia domowych monitorów bezdechu (Malloy 1996).

Nie wykazano istotnych statystycznie różnic w częstości SIDS pomiędzy dziećmi, u których monitorowano bezdech i dziećmi niemonitorowanymi w żadnej z analizowanych subpopulacji, tj. dzieci z wagą urodzeniową 500–1 499 g, 1 500–2 499 g oraz $\geq 2 500$ g (Malloy 1996).

Analiza doświadczeń rodziców wcześniaków, u których stosowano monitoring pulsoksymetryczny w domu wykazała, że mimo poczucia bezpieczeństwa i spokoju dzięki możliwości bieżącej kontroli stanu dziecka, wielu rodziców wyrażało niezadowolenie z powodu liczby fałszywych alarmów, które były znaczącym źródłem stresu. Rodzice wskazali na liczne trudności i ograniczenia związane ze stosowaniem pulsoksymetrów wpływające negatywnie na całą rodzinę w zakresie jakości snu, mobilności i interakcji społecznych (Ferro 2022).

Rozwiązania organizacyjne i refundacyjne przyjęte w innych krajach

Monitor oddechu dziecka z pulsoksymetrem refundowany jest w jednym kraju, tj. w Niemczech w ściśle określonych populacjach, na podstawie recepty lekarskiej.

Wpływ na budżet płatnika

Koszty refundacji monitora oddechu dziecka z pulsoksymetrem z perspektywy płatnika publicznego wyniosą:

- w wariantcie minimalnym ok.: 0,8 mln zł w I roku i 0,9 mln zł w II roku analizy,
- w wariantcie najbardziej prawdopodobnym oraz maksymalnym ok.: 1,1 mln zł w I roku i 1,3 mln zł w II roku analizy.

Średnia dopłata pacjenta do monitora oddechu wyniosła 930,50 zł w wariantcie minimalnym oraz najbardziej prawdopodobnym (koszt monitorów zgodny ze zleceniem MZ) oraz 18 938,67 zł w wariantcie maksymalnym (koszt monitorów refundowanych w Niemczech).

Sumaryczne koszty z perspektywy pacjentów wyniosą:

- w wariantcie minimalnym ok.: 0,9 mln zł w I roku i 1,1 mln zł w II roku analizy,
- w wariantcie najbardziej prawdopodobnym ok.: 1,3 mln zł w I roku i 1,5 mln zł w II roku analizy,
- w wariantcie maksymalnym ok.: 25,5 mln zł w I roku i 31,4 mln zł w II roku analizy.

Główne argumenty decyzji:

- *Nie zidentyfikowano monitorów oddechu z pulsoksymetrem dostępnych na rynku polskim, przeznaczonych do stosowania w warunkach domowych u niemowląt z ryzykiem bezdechu, bradykardii lub niedotlenienia, które posiadałyby status wyrobu medycznego.*
- *Nie zidentyfikowano badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa interwencji zgodnej ze zleceniem MZ, tj. monitorów oddechu stosowanych w warunkach domowych, umożliwiających bezpośrednie wykrywanie bezdechu i wyposażonych w pulsoksymetr.*
- *Badania uwzględnione w analizie dodatkowej nie wykazały istotnych statystycznie różnic w częstości występowania SIDS pomiędzy dziećmi monitorowanymi i niemonitorowanymi.*

Dodatkowe uwagi:

Istnieje potrzeba doprecyzowania:

- *charakterystyki monitorów oddechu, które mogłyby zostać objęte refundacją. W szczególności należy określić sposób wykrywania bezdechu (bezpośredni vs. pośredni) oraz parametry trafności diagnostycznej urządzeń,*
- *kryteriów kwalifikacji pacjentów przez lekarzy – w szczególności wcześniaków – do grupy wysokiego ryzyka nawrotów epizodów bezdechu, bradykardii lub niedotlenienia, a także zasad wystawiania zleceń na refundację wyrobu medycznego.*

W wariancie maksymalnym analizy wpływu na budżet, uwzględniającym koszt monitora oddechu z pulsoksymetrem SISS BabyControl M, koszty jednostkowe ponoszone przez pacjenta są bardzo wysokie i mogą przekraczać możliwości finansowe opiekunów dziecka.

W związku z powyższym zasadne byłoby rozważenie:

- *zwiększenia limitu finansowania ze środków publicznych,*
- *zaproponowania alternatywnego mechanizmu finansowania np. objęcie wnioskowanej technologii finansowaniem w ramach kategorii „Świadczeń Zdrowotnych Kontraktowanych Odrębnie”, co pozwoliłoby na elastyczniejsze podejście do finansowania w indywidualnych przypadkach klinicznych.*

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: DOWM.422.5.2025 „Monitory oddechu dziecka z pulsoksymetrem”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 178/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
systemy wykrywania napadów epileptycznych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego systemu wykrywania napadów epileptycznych.

Uzasadnienie

Padaczka dotyczy 0,5–1% populacji dziecięcej do 16. roku życia. Współczynnik zapadalności (liczba nowych zachorowań) na padaczkę wśród dzieci wynosi 20–50/100 000 dzieci w ciągu roku. Zapadalność znacząco maleje z wiekiem; w pierwszym roku życia wynosi 86/100 000, w grupie dzieci w wieku 1–9 lat 50–62/100 000, a najniższa jest między 10. a 14. rokiem życia - 39/100 000 (Pieczonka-Ruszkowska 2012). Padaczka jest leczona głównie farmakologicznie. Celem farmakoterapii jest uzyskanie trwałej remisji, jednak nie powinno to skutkować pogorszeniem jakości życia z powodu działania niepożądanego leków przeciwpadaczkowych. U 70% dzieci z padaczką rokowanie jest dobre, u 25% występują trudności w jej leczeniu, a u 5% padaczka ma charakter lekooporny.

Urządzenia do wykrywania napadów padaczkowych mają na celu m.in. rejestrowanie napadów padaczkowych (częstość, rodzaj i nasilenie napadów), zapobieganie nagłej nieoczekiwanej śmierci pacjentów z padaczką (SUDEP, ang. sudden unexpected death in epilepsy) oraz minimalizowanie wystąpienia urazów związanych z napadami.

Wnioskowana populacja dla ocenianej technologii obejmuje: pacjenci do ukończenia 18 r.ż. z padaczką, którzy nieświadomie doświadczyli napadów ogniskowych o początku ruchowym, napadów częściowych bez wtórnego uogólnienia, a także uogólnionych napadów ruchowych (napady toniczno - kloniczne, kloniczne, miokloniczne, padaczkowe) i o podwyższonym ryzyku indywidualnym napadów, niezależnie od ich etiologii, w wyniku co najmniej jednego z następujących:

- *zmiany leczenia przeciwpadaczkowego,*

- *padaczki trudnej do wyleczenia, tzn. gdy kilka leków przeciwpadaczkowych (w monoterapii lub w skojarzeniu), nie powoduje ustąpienia napadów w ciągu jednego roku,*
- *farmakoooporności, tj. gdy po próbach leczenia dwoma tolerowanymi, odpowiednimi i właściwie stosowanymi lekami przeciwpadaczkowymi (w monoterapii lub w skojarzeniu) nie udaje się uzyskać trwałego ustąpienia napadów,*
- *formy padaczki, w których napady występują głównie lub wyłącznie podczas snu i budzenia się,*
- *udowodnionej zwiększonej epileptogenności (tj. trwałego uszkodzenia mózgu w badaniu MRI/CT lub specyficznej patologicznej aktywności EEG).*

Do analizy włączono jeden przegląd systematyczny (Sasseville 2024), którego celem była ocena skuteczności urządzeń do wykrywania napadów padaczkowych w warunkach domowych, ich wpływu na wyniki zdrowotne oraz zbadanie doświadczeń pacjentów i ich opiekunów związanych z korzystaniem z tych technologii. Populację stanowiły głównie dzieci i młodzież przebywające w domach rodzinnych lub w placówkach opieki stacjonarnej. Najczęściej obserwowanym typem napadów były napady toniczno-kloniczne. Okres obserwacji w poszczególnych badaniach wynosił od 15 do 450 dni. Pięć spośród włączonych badań oceniało skuteczność urządzeń do wykrywania napadów padaczkowych (van Andel 2016, Meritam 2018, Hadady 2023, Dong 2021, Arends 2018). Parametry trafności diagnostycznej urządzeń do wykrywania napadów padaczkowych w warunkach domowych charakteryzowały się czułością na poziomie $\geq 80\%$ oraz niskim wskaźnikiem fałszywych alarmów ($\leq 1/\text{dzień}$). Dwa badania dotyczące wpływu urządzeń wykrywających napady padaczkowe na stan zdrowia dzieci z padaczką oraz ich rodzin analizowały m.in. jakość życia dzieci, poziom lęku i jakość snu rodziców, a także wsparcie rodzinne. W obu badaniach nie odnotowano istotnych różnic ani między grupami badawczymi, ani w obrębie grup (Borusiak 2016, Thompson 2019).

Jakość włączonego przeglądu systematycznego oceniono na niską.

Wytyczne NICE podkreślają znaczenie nadzoru nocnego (np. przez opiekuna) u osób z napadami padaczkowymi podczas snu i podwyższonym ryzykiem SUDEP. W przypadku technologii cyfrowych przeznaczonych do samodzielnego użytku przez pacjentów, takich jak monitory nocne czy alarmy, nie zdecydowano się na wydanie rekomendacji ze względu na brak wystarczających dowodów naukowych potwierdzających ich skuteczność.

Wytyczne międzynarodowe zalecają stosowanie klinicznie zwalidowanych urządzeń do wykrywania uogólnionych napadów toniczno-klonicznych (GTCS, ang. generalized tonic-clonic seizures) oraz napadów ogniskowych przechodzących w obustronny toniczno-kloniczny (FBTCS, ang. focal to bilateral tonic-clonic seizures) u pacjentów pozostających bez nadzoru, jeśli alarm może

skutkować szybką interwencją. Nie rekomendują stosowania tych urządzeń w przypadku innych typów napadów ze względu na brak wystarczających dowodów naukowych (ILAE IFCN 2021).

Problem ekonomiczny

Przyjmując populację pacjentów spełniających kryteria przyznawania w liczbie ok. 13 650 osób (30% z 45,5 tys. dzieci z padaczką), koszty refundacji NFZ mogą wynieść 73,5 mln zł rocznie. Natomiast szacowanie to jest obarczone dużą niepewnością.

Odnaleziono informację o refundacji systemów w dwóch krajów EU – Niemczech i Danii.

Główne argumenty decyzji:

- Zalecenia w wytycznych klinicznych,
- Zwiększone poczucie bezpieczeństwa pacjentów i ich rodzin,
- Małe ryzyko nadużyć.

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: DOWM.422.7.2025 „System wykrywania napadów epileptycznych”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 179/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
pikflometr

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego pikflometr.

Uzasadnienie

Wnioskowaną populacją są pacjenci z przewlekłymi obturacyjnymi chorobami układu oddechowego przebiegającymi z dużymi wahaniami stopnia niedrożności dróg oddechowych.

Proponowaną grupą lekarzy mających mieć uprawnienie do przyznawania refundacji są lekarze posiadający specjalizację w dziedzinie: chorób płuc; chorób płuc u dzieci; chorób wewnętrznych; lub pediatrii, limit finansowania ma wynosić 30 zł, udział własny pacjenta w limicie finansowania 30%, a kryteriami przyznania są: samokontrola przewlekłych obturacyjnych chorób układu oddechowego przebiegających z dużymi wahaniami stopnia niedrożności dróg oddechowych (z wyłączeniem rozedmy płuc).

Najczęstszymi chorobami obturacyjnymi układu oddechowego są astma i przewlekła obturacyjna choroba płuc (POChP). Duże wahania stopnia niedrożności dróg oddechowych są charakterystyczne dla astmy, natomiast w przypadku POChP nie jest to cecha charakterystyczna. Stałość bądź zmienność obturacji jest cechą różnicującą obie choroby. Duże spadki szczytowego przepływu wydechowego (PEF, ang. peak expiratory flow) w POChP obserwuje się w przypadku zaostrzeń choroby. U części pacjentów współwystępują cechy typowe zarówno dla astmy, jak i POChP, tzw. nakładanie astmy i POChP (ACO, ang. Asthma-COPD overlap).

Ocenianą technologią medyczną jest pikflometr. Jest to wyrób medyczny przeznaczony do pomiaru PEF w warunkach domowych. Na rynku dostępne są pikflometry mechaniczne i elektroniczne (umożliwiają przechowywanie w pamięci wyników pomiarów). Niektóre pikflometry elektroniczne umożliwiają

również wykonanie pomiaru natężonej pierwszosekundowej objętości wydechowej (FEV1, ang. forced expiratory volume in one second).

Do opracowania Agencji włączono siedem wytycznych praktyki klinicznej, z czego cztery dotyczące diagnostyki, monitorowania i leczenia astmy (STAN4T 2025; KK astma 2024; GINA 2024; BTS, NICE, SIGN 2024) i trzy dotyczące POChP (GOLD 2025, KK POChP 2024, NICE 2018). Wytyczne wskazują na możliwość wykorzystania pomiaru PEF w samokontroli astmy (BTS, NICE, SIGN 2024; GINA 2024), przy czym wytyczne brytyjskie ograniczają jego zastosowanie do populacji dorosłych (w przypadku dzieci preferowane jest podejście oparte na objawach). Pomiar PEF jest zalecany w monitorowaniu astmy we wszystkich analizowanych wytycznych (STAN 4T 2025; KK astma 2024; BTS, NICE, SIGN 2024; GINA 2024), przy czym regularne monitorowanie PEF nie jest zalecane (BTS, NICE, SIGN 2024). Monitorowanie choroby przez pacjenta jest wskazane w przypadku ciężkiej astmy lub z trudnościami z percepcją objawów (KK astma 2024; GINA 2024; BTS, NICE, SIGN 2024), w przypadku oceny odpowiedzi na leczenie, identyfikacji czynników wywołujących nasilenie objawów (w tym w miejscu pracy), a także do ustalenia wartości wyjściowej dla planu leczenia (STAN 4T 2025; GINA 2024). Żadne z wytycznych nie odnoszą się do samokontroli z wykorzystaniem pomiaru PEF w przypadku POChP. Wytyczne brytyjskie nie zalecają rutynowego wykonywania codziennych pomiarów PEF lub FEV1 w celu monitorowania powrotu do zdrowia po zaostrzeniu POChP (NICE 2018). Dodatkowo wytyczne wskazują na możliwość wykorzystania pomiaru PEF jako badania pomocniczego w diagnostyce astmy, np. w przypadku, gdy spirometria nie jest dostępna (STAN 4T 2025; GOLD 2025; BTS, NICE, SIGN 2024), w celu rozróżnienia POChP od astmy (NICE 2018) lub nakładania się obu tych chorób (GINA 2024).

Nie zidentyfikowano przeglądów systematycznych ani metaanaliz dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa pikflometrów, spełniających kryteria włączenia do analizy Agencji. W wyniku wyszukiwania wolnotekstowego zidentyfikowano badania RCT, w których porównywano samokontrolę z użyciem pikflometrów do subiektywnej oceny objawów lub planowych wizyt lekarskich opublikowane przed 2005 r. Ze względu na długi czas od publikacji wyników badań i wynikające z tego potencjalne zmiany w standardzie opieki nad populacją pacjentów z przewlekłymi obturacyjnymi chorobami układu oddechowego, organizacji udzielania świadczeń, a także zmieniające się możliwości technologiczne wyrobów medycznych, uznano, iż analiza takich badań nie będzie w pełni odpowiadała obecnym standardom opieki nad pacjentem. W konsekwencji, odstąpiono od wykonania przeglądu systematycznego badań pierwotnych. Jednocześnie uznano, że przegląd aktualnych wytycznych klinicznych pozwoli na ocenę przydatności pikflometrów w świetle najbardziej aktualnych zaleceń dotyczących opieki nad pacjentami z przewlekłymi obturacyjnymi chorobami układu oddechowego.

Wpływ na budżet:

Według Ministerstwa Zdrowia szacowany skutek finansowy refundacji pikflometrów dla płatnika publicznego wyniesie około 8,4 mln zł. Oszacowania oparto na liczbie pacjentów z zaawansowaną postacią POChP, która – zdaniem analityków Agencji – nie odpowiada (nie jest tożsama) populacji określonej w kryteriach przyznawania

Analiza wpływu na budżet, przeprowadzona przez Analityków Agencji z trzech perspektyw – płatnika publicznego, pacjenta oraz wspólnej – wykazała, że roczny koszt w pierwszych dwóch latach może wynosić od 11,0 mln zł do 36,5 mln zł dla NFZ, od 20,4 mln zł do 232,9 mln zł dla pacjentów, oraz od 31,4 mln zł do 269,4 mln zł łącznie.

Główne argumenty decyzji:

- wytyczne nie wskazują na znaczenie wykorzystania pomiaru PEF w monitorowaniu i samokontroli leczenia POChP;
- brak dowodów naukowych uzasadniających refundację wnioskowanej technologii;
- niepewność oszacowania wielkości populacji uprawnionej do korzystania z refundacji ze względu na brak precyzyjnych kryteriów kwalifikacji, możliwość różnych preferencji terapeutycznych lekarzy i pacjentów;
- duży koszt dla 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: DOWM.422.6.2025 „Pikflometry”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 180/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
ciśnieniomierz naramienny mówiący w języku polskim

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego ciśnieniomierz naramienny mówiący w języku polskim.

Uzasadnienie

Przedmiotem niniejszej opinii jest analiza zasadności objęcia refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie ciśnieniomierzy naramiennych mówiących w języku polskim dla osób niewidomych lub ociemniałych z rozpoznanym nadciśnieniem tętniczym.

Wnioskowana technologia medyczna nie jest aktualnie finansowana ze środków publicznych.

Populację docelową do zastosowania wnioskowanej technologii stanowią pacjenci niewidomi lub ociemniali z rozpoznanym nadciśnieniem tętniczym.

Osoba niewidoma jest całkowicie lub w znacznym stopniu pozbawiona wzroku. Tym samym nie pobiera w ten sposób informacji ze świata zewnętrznego – polega przede wszystkim na słuchu i dotyku. Osoba ociemniona jest z kolei osobą niewidomą, która straciła wzrok w wyniku choroby lub urazu mechanicznego po 5. roku życia. Jest to granica czasu, w którym człowiek zachowuje pamięć o wyglądzie otaczającego świata (pamięta już obrazy wzrokowe i zapamiętuje, jak wyglądają przedmioty wokół niego), a wyćwiczone do tego czasu umiejętności widzenia umożliwiły mu dobrą orientację w terenie i prawidłowy rozwój fizyczny.

U osób z niepełnosprawnością narządu wzroku brak umiejętności poruszania się z białą laską, zaburzona orientacja przestrzenna oraz brak poczucia bezpieczeństwa i samodzielności sprawia, że zostają w domu (stają się wykluczone społecznie). Osoby takie z uwagi na mało aktywny tryb życia często są narażone na dodatkowe dolegliwości m.in. otyłość, sztywność mięśni,

choroby układu krążenia. Brak aktywności fizycznej powoduje pogarszanie stanu zdrowia zarówno fizycznego jak i psychicznego.

W Polsce jest ok. 1 mln 750 tys. osób z niepełnosprawnością narządu wzroku. Wg danych GUS w 2014 r. 2 796 700 osób miało uszkodzenia i choroby narządu wzroku, z czego 42 000 osób zadeklarowało się jako osoby niewidome.

Nadciśnienie tętnicze - w zależności od etiologii dzieli się na: pierwotne (bez jednoznacznej przyczyny, spowodowane różnymi czynnikami genetycznymi i środowiskowymi) oraz wtórne (o znanej przyczynie).

Nadciśnienie tętnicze (NT) ma głównie charakter bezobjawowy. Wśród ewentualnych objawów może występować ból głowy, zaburzenia snu, łatwe męczenie się, a inne objawy pojawiają się wraz z rozwinięciem się powikłań narządowych nadciśnienia. Z czasem NT może prowadzić do przerostu lewej komory serca, przyspieszonego rozwoju miażdżycy w tętnicach szyjnych, wieńcowych, nerkowych i tętnicach kończyn dolnych, zwiększenia sztywności tętnic, udaru mózgu, upośledzenia czynności nerek i ich niewydolności, rozwarstwienia aorty czy zmian w naczyniach siatkówki. Ryzyko zgonu z przyczyn naczyniowych jest zwiększone. Rozpoznanie opiera się głównie na wartościach ciśnienia tętniczego z wielokrotnych pomiarów wykonanych podczas kilku wizyt.

Leczenie przewlekłe NT obejmuje przede wszystkim modyfikację stylu życia, stosowanie leków hipotensyjnych oraz modyfikowanie innych czynników ryzyka sercowo-naczyniowego. Decyzja o sposobie leczenia zależy od wysokości ciśnienia tętniczego i od całkowitego ryzyka sercowo-naczyniowego.

Domowe ciśnieniomierze z funkcją głosową umożliwiają samodzielne wykonywanie pomiarów ciśnienia krwi, szczególnie osobom niewidomym. Dzięki komunikatom głosowym i elementom dotykowym, obsługa urządzenia nie wymaga korzystania z ekranu wyświetlacza. Regulacja głośności pozwala dostosować urządzenie do indywidualnych potrzeb użytkownika. Tego typu rozwiązania wspierają niezależność osób z dysfunkcją wzroku i pomagają im skutecznie monitorować stan zdrowia.

Ciśnieniomierze posiadają udowodnioną skuteczność oraz mają ugruntowaną pozycję w praktyce klinicznej.

Wytyczne krajowe, europejskie oraz amerykańskie podkreślają, że domowe monitorowanie ciśnienia tętniczego stanowi istotny element zarówno diagnostyki, jak i monitorowania skuteczności leczenia nadciśnienia tętniczego. Zaleca się stosowanie automatycznych, zwalidowanych ciśnieniomierzy z odpowiednio dobranym mankietem, jako podstawowego narzędzia pomiarowego poza gabinetem lekarskim. Nie odnaleziono jednak żadnych rekomendacji dotyczących stosowania mówiących ciśnieniomierzy przez osoby niewidome i ociemniałe. Amerykańskie wytyczne (AAO 2025) dotyczące opieki

nad osobami z utratą wzroku zalecają zapewnienie dostępu do specjalistycznej oceny wzroku, rehabilitacji oraz technologii wspomagających. Urządzenia i rozwiązania powinny być dobierane indywidualnie, zgodnie z potrzebami pacjenta, aby wspierać jego funkcjonowanie w codziennym życiu.

Eksperci są zgodni co do zasadności refundacji ciśnieniomierzy mówiących w języku polskim dla osób niewidomych i ociemniałych z rozpoznaniem nadciśnienia tętniczego, podkreślając ich znaczenie dla poprawy skuteczności terapii nadciśnienia tętniczego oraz wspierania samodzielności pacjentów. Wskazują, że osoby te mają utrudniony dostęp do tradycyjnych metod pomiaru ciśnienia, a urządzenia z funkcją głosową mogą znacząco ułatwić codzienne monitorowanie stanu zdrowia.

W ocenie Ministerstwa Zdrowia szacowany koszt refundacji ciśnieniomierzy naramiennych mówiących po polsku dla płatnika publicznego może wynieść około 3,1 mln zł rocznie. Z kolei wedle oszacowań AOTMiT koszty refundacji ciśnieniomierzy naramiennych mówiących w języku polskim z perspektywy płatnika publicznego wyniosą w wariantcie najbardziej prawdopodobnym: 1,7 mln zł w I roku i 1,3 mln zł w II roku (koszty ograniczono do ceny urządzenia, przy limicie finansowania wynoszącym 89 zł i dopłacie własnej pacjenta na poziomie 30% tego limitu, refundacja przysługiwałaby pacjentowi jednokrotnie).

Główne argumenty decyzji:

- *Domowe monitorowanie ciśnienia tętniczego stanowi istotny element zarówno diagnostyki, jak i monitorowania skuteczności leczenia nadciśnienia tętniczego.*
- *Rozwiązanie wspiera samodzielność i niezależność osób niewidomych lub ociemniałych, które mają utrudniony dostęp do tradycyjnych metod pomiaru ciśnienia, w zakresie monitorowania stanu zdrowia.*
- *Wytyczne amerykańskie wskazują na konieczność stosowania technologii wspierających funkcjonowanie w codziennym życiu w tej populacji.*
- *Akceptowalne zwiększenie wydatków po stronie 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: DOWM.422.8.2025 „Ciśnieniomierze naramienne mówiące w języku polskim”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 181/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie zasadności objęcia refundacją wyrobu medycznego
termometr mówiący w języku polskim

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie wyrobu medycznego termometry mówiące w języku polskim.

Uzasadnienie

Przedmiotem niniejszego opracowania analitycznego jest analiza zasadności objęcia refundacją w ramach rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2017 r. w sprawie wykazu wyrobów medycznych wydawanych na zlecenie (Dz. U. z 2024 r. poz. 500, z późn. zm.) termometrów mówiących w języku polskim dla osób niewidomych lub ociemniałych.

Osoba niewidoma to osoba całkowicie lub znacznie pozbawiona wzroku, z ostrością widzenia poniżej 0,05 lub polem widzenia do 20 stopni, natomiast osoba ociemniała to osoba niewidoma, która utraciła wzrok po ukończeniu 5. roku życia. Uszkodzenia narządu wzroku może nastąpić wskutek działania rozmaitych czynników natury endogennej lub egzogennej, co skutkuje częściowym bądź całkowitym zaburzeniem czynności wzrokowych. Należą do nich czynniki genetyczne, wady wrodzone, uszkodzenia perinatalne, wcześniactwo, choroby zakaźne przebiegające z wysoką gorączką, nowotwory, cukrzyca, awitaminozę oraz urazy narządu wzroku. W Polsce jest ok. 1 mln 750 tys. osób z niepełnosprawnością narządu wzroku. Wg danych GUS w 2014 r. 2 796 700 osób miało uszkodzenia i choroby narządu wzroku, z czego 42 000 osób zadeklarowało się jako osoby niewidome.

Termometry z funkcją głosowego odczytu wyniku pomiaru są przydatne dla osób niewidomych i słabowidzących, umożliwiając im samodzielne monitorowanie temperatury ciała. Dzięki komunikatom głosowym w języku polskim użytkownik otrzymuje jasną informację o zakończeniu pomiaru i jego wyniku. Funkcja mówienia wyników pomiaru w termometrach dla niewidomych wykorzystuje technologię syntezy mowy. Po dokonaniu pomiaru, urządzenie odczytuje

wynik na głos, co pozwala użytkownikowi na szybkie i łatwe zrozumienie temperatury.

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji dotyczących stosowania termometrów mówiących przez osoby niewidome i ociemniałe. Zidentyfikowano jedno wytyczne amerykańskie (AAO 2025), dotyczące technologii wspomagających dla pacjentów z dysfunkcją narządu wzroku, które zalecają zapewnienie pacjentom dostępu do specjalistycznej oceny wzroku, rehabilitacji oraz technologii wspomagających. Urządzenia i rozwiązania powinny być dobierane indywidualnie, zgodnie z potrzebami pacjenta, aby wspierać jego funkcjonowanie w codziennym życiu.

Refundacja termometrów mówiących w języku polskim dla osób niewidomych i ociemniałych została oceniona przez ekspertów jako rozwiązanie zasadne i potrzebne. Urządzenia te znacząco wspierają samodzielność pacjentów, umożliwiając im codzienne monitorowanie stanu zdrowia bez konieczności pomocy osób trzecich. W opinii ekspertów, takie wsparcie technologiczne może realnie poprawić jakość życia osób z niepełnosprawnością wzroku.

Koszty refundacji termometrów mówiących w języku polskim z perspektywy płatnika publicznego wyniosą w wariantach najbardziej prawdopodobnym: 2,6 mln zł w I roku i 2,0 mln zł w II roku analizy.

Główne argumenty decyzji:

- Brak oficjalnych rekomendacji odnoszących się do stosowania termometrów mówiących dla osób niewidomych i ociemniałych.
- Istotny wpływ na budżet publiczny.

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: „Termometry mówiące w języku polskim”; data ukończenia: 25.09.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 123/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz
międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” (w I linii leczenia)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg, GTIN: 08720598340280, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”: tislelizumab z karboplatyną i paklitakselem w I linii leczenia NDRP o typie płaskonabłonkowym ze znanym statusem białka PD-L1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Tislelizumab jest wariantem humanizowanego przeciwciała monoklonalnego z klasy immunoglobulin G4 (IgG4) skierowanym przeciwko PD-1, wiążącym się z zewnątrzkomórkową domeną ludzkiego PD-1. Kompetencyjnie blokuje wiązanie zarówno PD-L1, jak i PD-L2, hamując szlak sygnałowy negatywnie regulowany przez PD-1 i wzmacniając funkcjonalną aktywność limfocytów T w testach komórkowych (ang. cell-based assays) w warunkach in vitro.

Rak płuca stanowi większość nowotworów płuca i jest najczęstszym nowotworem złośliwym w Polsce zarówno pod względem liczby zachorowań (ok. 25 tys. rocznie – prognoza KRN na 2024 r.), jak i liczby zgonów. Ogólna 5-letnia przeżywalność stanowi 10–15% (operowanych i nieoperowanych łącznie). Rak płuca w 2022 r. był najczęstszą przyczyną zgonów na nowotwór złośliwy.

Dostępne technologie alternatywne obejmują: pembrolizumab (PBR), atezolizumab (ATEZO), cemiplimab (CEM) w monoterapii, pembrolizumab w skojarzeniu z paklitakselem i karboplatyną (PBR + PAC + KAR), niwolumab w skojarzeniu z ipilimumabem i chemioterapią opartą o pochodne platyny (NIV + IPI + P-CTH), cemiplimab w skojarzeniu z paklitakselem i pochodną platyny (CEM + PAC + P) oraz dwulekową chemioterapię opartą o pochodną platyny (P-CTH), która obejmuje pochodną platyny (karboplatynę lub cisplatynę) oraz jeden z poniższych leków: paklitaksel, docetaksel, gemcytabina, winorelbina lub

etopozyd, a także durwalumab z tremelimumabem w skojarzeniu z gemcytabiną i pochodną platyny.

Dowody naukowe

Kluczowym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak bezpośredniego porównania z komparatorami uznanymi za podstawowe – pembrolizumabem, atezolizumabem i cemiplimabem stosowanymi w monoterapii, a także z cemiplimabem w skojarzeniu z chemioterapią, pembrolizumabem w skojarzeniu z chemioterapią oraz niwolumabem w skojarzeniu z ipilimumabem i chemioterapią. Dowody z najwyższego poziomu wiarygodności (RCT z grupą kontrolną) ograniczone są do jednego badania klinicznego III fazy: RATIONALE-307, w którym oceniano skuteczność stosowania tislelizumabu w skojarzeniu z paklitakselem i karboplatiną w porównaniu z dwulekową chemioterapią opartą na pochodnej platyny u pacjentów z nieoperacyjnym, miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym płaskonabłonkowym NDRP w I linii leczenia.

Wyniki badania RATIONALE-307 wskazują, że stosowanie schematu TIS + PAC + KAR przyczyniło się do IS wydłużenia przeżycia całkowitego (OS) pacjentów w porównaniu do pacjentów stosujących P-CTH: HR=0,67 (95% CI: 0,49; 0,92). Mediana OS wyniosła 26,1 mies. u pacjentów leczonych TIS + PAC + KAR oraz 19,4 mies. u chorych otrzymujących P-CTH (dane raportowane po okresie obserwacji 50,3 mies.), co oznacza wydłużenie przeżycia całkowitego o ok. 6,7 miesiąca. Ponadto, leczenie z zastosowaniem TIS + PAC + KAR w porównaniu z P-CTH przyczyniło się do IS wydłużenia przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS): HR= 0,45 (95% CI: 0,33; 0,62). Mediana przeżycia wolnego od progresji choroby była dłuższa w grupie TIS + PAC + KAR w porównaniu z grupą kontrolną (7,7 vs 5,5 miesiąca dla mediany okresu obserwacji 50,3 mies.).

W badaniu RATIONALE-307 leczenie schematem TIS + PAC + KAR w porównaniu do P-CTH wiązało się z istotnym statystycznie wzrostem ryzyka wystąpienia zdarzeń niepożądanych występujących w czasie leczenia (ang. treatment-emergent adverse events; TEAE) prowadzących do konieczności modyfikacji leczenia oraz ciężkich zdarzeń niepożądanych (ang. serious adverse events; SAE), w tym związanych z leczeniem. Leczenie schematem TIS + PAC + KAR wiązało się ze statystycznie wyższym w porównaniu do P-CTH ryzykiem wystąpienia TRAE: wysypki, wzrostu poziomu bilirubiny we krwi, wzrostu poziomu ALT i AST. Najczęstszymi ($\geq 15\%$) działaniami niepożądanymi ≥ 3 stopnia występującymi u pacjentów leczonych tislelizumabem w badaniu RATIONALE-307 były: spadek liczby neutrofilów (53%), neutropenia (33%), spadek liczby białych krwinek (23%).

Ograniczenia badania RATIONALE-307 dotyczą braku zaślepienia (co może zwiększać ryzyko stronniczości w raportowanych wynikach) oraz populacji w całości azjatyckiej - co może wpływać na transferowalność wyników na populację europejską. Ponadto, populacja pacjentów była wysoce

wyselekcjonowana pod względem stanu sprawności i chorób współistniejących, a zatem nie może być uważana za reprezentatywną dla populacji pacjentów w warunkach rzeczywistych. Niereprezentatywny dla populacji docelowej był również bardzo mały odsetek kobiet w badaniu (grupa badana - 10,8%, grupa kontrolna - 8,3%) oraz wysoki odsetek pacjentów nigdy niepalących (ok 20% w obu grupach). Zastosowany w badaniu komparator to chemioterapia, której skuteczność jest niższa w porównaniu do ICI, tj. terapii zalecanej przez wytyczne w ocenianym wskazaniu jako standard postępowania i refundowanej obecnie w Polsce w ramach PL.

Wnioskodawca włączył do analizy również 10 przeglądów systematycznych. Jakość wszystkich odnalezionych przeglądów systematycznych oceniono jako niską (Girard 2025, Daei Sorkhabi 2023, Fu 2025, Li 2023, Liu 2021, Liu 2025, Messori 2023, Siciliano 2022, Zhao 2022) lub krytycznie niską (Liu 2023).

Wytyczne kliniczne

W wyniku przeszukania wytycznych praktyki klinicznej jedynie w wytycznych ESMO 2025 v. 1.2. odnaleziono rekomendacje stosowania schematu leczenia tislelizumab + karboplatyna + paklitaksel jako jednej z opcji terapeutycznych w leczeniu systemowym I linii w przypadku braku przeciwwskazań do immunoterapii, dla pacjentów z PS 0-1, niezależnie od statusu PD-L1.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania TIS+KAR+PAC vs P-CTH z perspektywy NFZ wyniósł [REDACTED] (bez RSS: 635 566 zł/QALY). Wartości bez RSS znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji, [REDACTED]

Oszacowana wartość progowa jest [REDACTED] od wnioskowanej ceny zbytu netto, wyniosła dla porównania wnioskowanej technologii z P-CTH: [REDACTED]. Wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Tevimbra, przy której koszt

jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania pozostałych komparatorów wyniosły odpowiednio: dla porównania z PBR: [REDACTED], z ATEZO: [REDACTED], z CEM: [REDACTED], z PBR+KAR+PAC: [REDACTED], z NIV+IPI+P+P-CTH: [REDACTED] oraz dla porównania z CEM+PAC+P: [REDACTED]. Oszacowane wartości są [REDACTED] od wnioskowanej ceny zbytu netto.

Główne graniczenia analizy wnioskodawcy to: jest brak przeprowadzenia porównania wnioskowanej technologii ze schematem durwalumab w skojarzeniu tremelimumabem, gemcytabiną i pochodną platyny (DUR+TREM+GEM+P) oraz założenie o ograniczeniu czasu trwania terapii PAC i KAR do maksymalnie 6 cykli chemioterapii.

Oszacowana liczba pacjentów, u których będzie stosowana wnioskowana interwencja po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej wynosi [REDACTED] w I oraz [REDACTED] w II roku obowiązywania decyzji.

Wydanie pozytywnej decyzji w wariancie bez RSS spowoduje wzrost wydatków płatnika o [REDACTED] w I oraz o [REDACTED] mln zł w II roku refundacji. W wariancie z RSS w wydanie pozytywnej decyzji refundacyjnej przyniesie [REDACTED] w wysokości [REDACTED] w I oraz [REDACTED] w II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono niemiecką rekomendację G-Ba z 2025 r., w której nie udowodniono dodatkowej korzyści ze stosowania tislelizumabu w skojarzeniu z karboplatiną i paklitakselem, gdyż komparator zastosowany w badaniu RATIONALE-307 nie jest standardem terapeutycznym w Niemczech.

Ponadto, odnaleziono informację, że brytyjska agencja NICE zakończyła ocenę leku Tevimbra bez wydania rekomendacji z powodu nieprzedstawienia dowodów przez podmiot odpowiedzialny.

Główne argumenty decyzji

- Brak badań wykazujących przewagę ocenianej technologii nad innymi niż PAC+KAR standardowymi schematami dwulekowej CTH opartej na pochodnych platyny (P-CTH);
- Dane dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa terapii w bezpośrednim porównaniu w ocenianym wskazaniu ograniczone wyłącznie do jednego badania RATIONALE-307 zawierającego istotne ograniczenia;
- Nie udowodniono dodatkowych korzyści ze stosowania leku w porównaniu z obecnie dostępnymi w tym wskazaniu interwencjami;
- Wysoka cena leku i duży wpływ na budżet płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), 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: O T.423.1.41.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)«”; data ukończenia: 17 września 2024 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BeOne Medicines Poland Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 907)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)²⁾.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (BeOne Medicines Poland Sp. z o.o.)

¹ podstawa prawna zakreśleń danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)

² podstawa prawna zakreśleń w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 124/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz
międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”
(w kolejnej linii leczenia)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg, GTIN: 08720598340280, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”: tislelizumab w monoterapii w kolejnej linii leczenia we wszystkich typach niedrobnokomórkowego raka płuca po uprzednim leczeniu pochodnymi platyny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Tislelizumab jest wariantem humanizowanego przeciwciała monoklonalnego z klasy immunoglobulin G4 (IgG4) skierowanym przeciwko PD-1, wiążącym się z zewnątrzkomórkową domeną ludzkiego PD-1. Kompetencyjnie blokuje wiązanie zarówno PD-L1, jak i PD-L2, hamując szlak sygnałowy negatywnie regulowany przez PD-1 i wzmacniając funkcjonalną aktywność limfocytów T w testach komórkowych (ang. cell-based assays) w warunkach in vitro. Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Tevimbra (tislelizumab) we wskazaniu wynikającym z treści uzgodnionego programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”: tislelizumab w monoterapii w kolejnej linii leczenia we wszystkich typach niedrobnokomórkowego raka płuca po uprzednim leczeniu pochodnymi platyny.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Tevimbra jest zawężone w stosunku do wskazania rejestracyjnego: wnioskowany program lekowy wyklucza pacjentów z mutacją genu EGFR lub ALK, zaś ChPL Tevimbra dopuszcza takich pacjentów, wskazując jedynie, że pacjenci z mutacją genu EGFR lub ALK powinni otrzymać terapie celowane przed podaniem tislelizumabu. Rak płuca stanowi większość nowotworów płuca i jest najczęstszym nowotworem

złośliwym w Polsce zarówno pod względem liczby zachorowań (ok. 25 tys. rocznie – prognoza KRN na 2024 r.), jak i liczby zgonów. Ogólna 5-letnia przeżywalność stanowi 10–15% (operowanych i nieoperowanych łącznie). Rak płuca w 2022 r. był najczęstszą przyczyną zgonów na nowotwór złośliwy.

W niedrobnokomórkowym raku płuca (NDRP) wyróżnia się typy histologiczne: płaskonabłonkowy, niepłaskonabłonkowy i nieokreślony (NOS, ang. not otherwise specified).

Przedmiotowa technologia nie była dotychczas przedmiotem oceny AOTMiT. Do dostępnych technologii alternatywnych względem opiniowanego leku należą: pembrolizumab, atezolizumab i cemiplimab (wszystkie w monoterapii) oraz cemiplimab w skojarzeniu z pemetrekselem/paklitakselem i pochodną platyny, a także dwulekową chemioterapię opartą na pochodnej platyny (P-CTH).

Dowody naukowe

Dowody z najwyższego poziomu wiarygodności (RCT z grupą kontrolną) ograniczone są do jednego badania klinicznego III fazy: RATIONALE-303, w którym oceniano skuteczność stosowania tislelizumabu w monoterapii u pacjentów z nieoperacyjnym, miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym płaskonabłonkowym lub niepłaskonabłonkowym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) w II i III linii leczenia. Głównym ograniczeniem samego badania jest komparator – skuteczność ocenianej interwencji porównano tylko do monoterapii docetakselem. Dodatkowymi ograniczeniami są brak zaślepienia, który może zwiększać ryzyko stronniczości w raportowanych wynikach (zwłaszcza ocenianych subiektywnie przez pacjentów, np. dotyczących jakości życia) oraz niewielki udział pacjentów rasy białej w badaniu (17%), co może wpływać na transferowalność wyników na populację docelową. We włączonej do badania populacji nie ma pacjentów z rakiem nieokreślonym (NOS) oraz w IV i kolejnych liniach leczenia.

Wyniki porównania bezpośredniego z docetakselem (RATIONALE-303)

W zakresie przeżycia całkowitego (ang. overall survival, OS) wyniki badania RATIONALE-303 wskazują, na IS przewagę tislelizumabu nad docetakselem: HR=0,66; 95% CI: 0,56-0,79. Mediany OS wyniosły odpowiednio 16,9 mies. dla TIS i 11,9 mies. dla DOC, co oznacza wydłużenie przeżycia całkowitego o ok. 5 miesięcy. Zdaniem ankietowanych przez Agencję ekspertów klinicznych minimalna różnica w zakresie OS odczuwalna przez chorego wynosi wg Konsultanta Krajowego – 6 miesięcy, a wg drugiego pytanego eksperta ≥ 3 miesiące.

Ponadto leczenie z zastosowaniem tislelizumabu w porównaniu z docetakselem przyczyniło się do IS wydłużenia przeżycia wolnego od progresji choroby (ang. progression free survival, PFS): HR=0,63; 95% CI: 0,53 – 0,75. Mediany PFS wyniosły odpowiednio 4,2 mies. i 2,6 mies., a ich różnica (ok. 1,6 mies.) jest

nieistotna klinicznie: według ankietowanych przez Agencję ekspertów minimalna różnica w zakresie PFS odczuwalna przez chorego wynosi: wg Konsultanta Krajowego – 3 miesiące, wg prof. Jassemę ≥ 2 miesiące).

Wytyczne kliniczne z roku 2025 wskazują przedmiotową technologię jako możliwą do zastosowania w II i kolejnych liniach leczenia (ESMO).

Problem ekonomiczny

Oszacowana liczba pacjentów, u których będzie stosowana wnioskowana interwencja po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej wynosi [redacted] w I oraz [redacted] w II roku obowiązywania decyzji.

Wydanie pozytywnej decyzji w wariancie bez RSS spowoduje wzrost wydatków płatnika o 10,72 mln zł w I oraz o 31,23 mln zł w II roku refundacji, zaś w wariancie z RSS [redacted].

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedynie pochodzącą z Niemiec ocenę dodatkowej korzyści klinicznej, G-Ba 2025 r. W rekomendacji wskazano brak dodatkowej korzyści klinicznej w porównaniu do obecnie stosowanej terapii.

Ponadto, odnaleziono informację, że brytyjska agencja NICE zakończyła ocenę leku Tevimbra bez wydania rekomendacji z powodu nieprzedstawienia dowodów przez podmiot odpowiedzialny.

Główne argumenty decyzji

- *Brak badań bezpośrednio porównujących ocenianą technologię z podstawowymi komparatorami stosowanymi standardowo w praktyce klinicznej.*
- *Pojedyncze zalecenia wytycznych klinicznych.*
- *Brak wyników badań rzeczywistej praktyki klinicznej.*

- *Niepewny profil bezpieczeństwa.*
- *Wzrost wydatków płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.42.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)«”; data ukończenia: 17 września 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BeOne Medicines Poland Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 907)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)²⁾.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: BeOne Medicines Poland Sp. z o.o.

¹ podstawa prawna zakreśleń danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)

² podstawa prawna zakreśleń w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 125/2025 z dnia 29 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz
międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”
(w I linii leczenia, PD-L1 $\geq$ 50%)

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 100 mg, GTIN: 08720598340280 w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” (I linia leczenia chorych na niedrobnokomórkowego raka płuc o typie niepłaskonabłonkowym z ekspresją PD-L1 $\geq$ 50% – tislelizumab w skojarzeniu z pemetreksedem i pochodną platyny)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Tislelizumab jest wariantem humanizowanego przeciwciała monoklonalnego z klasy immunoglobulin G4 (IgG4) skierowanym przeciwko PD-1, wiążącym się z zewnątrzkomórkową domeną ludzkiego PD-1. Kompetencyjnie blokuje wiązanie zarówno PD-L1, jak i PD-L2, hamując szlak sygnałowy negatywnie regulowany przez PD-1 i wzmacniając funkcjonalną aktywność limfocytów T w testach komórkowych (ang. cell-based assays) w warunkach in vitro.

Opiniowany wniosek dotyczy stosowania tislelizumabu w skojarzeniu z pemetreksedem i pochodną platyny w leczeniu pierwszej linii u chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z ekspresją PD-L1 $\geq$ 50%, u których wykluczono obecność mutacji w genie EGFR oraz rearanżację genów ALK i ROS1.

Rak płuca stanowi większość nowotworów płuca i jest najczęstszym nowotworem złośliwym w Polsce zarówno pod względem liczby zachorowań (ok. 25 tys. rocznie – prognoza KRN na 2024 r.), jak i liczby zgonów. Ogólna 5-letnia przeżywalność stanowi 10–15% (operowanych i nieoperowanych łącznie). Rak płuca w 2022 r. był najczęstszą przyczyną zgonów na nowotwór złośliwy.

Do dostępnych technologii alternatywnych względem opiniowanego leku należą: pembrolizumab, atezolizumab i cemiplimab (wszystkie w monoterapii) oraz

cemiplimab w skojarzeniu z pemetrekselem/paklitakselem i pochodną platyny, a także dwulekową chemioterapię opartą na pochodnej platyny (P-CTH). Wszystkie są refundowane w omawianym wskazaniu, przy czym dwulekowa chemioterapia w najnowszych wytycznych PTOK 2025 nie jest zalecana w I linii leczenia, lecz jako opcja do rozważenia w II linii. Ww. terapia nie jest również zalecana w I linii leczenia w wytycznych ESMO 2025 i NCCN 2025. Należy zatem przyjąć, że nie stanowi jednego z podstawowych komparatorów, a jedynie komparator dodatkowy.

Dowody naukowe

Dowody z najwyższego poziomu wiarygodności (RCT z grupą kontrolną) ograniczone są do jednego badania klinicznego III fazy: RATIONALE-304, w którym oceniano skuteczność stosowania tislelizumabu w skojarzeniu z pemetrekselem i pochodną platyny w porównaniu z P-CTH (komparator dodatkowy) u pacjentów z nieoperacyjnym, miejscowo zaawansowanym lub rozsiałym niepłaskonabłonkowym NDRP w I linii leczenia.

Wyniki badania RATIONALE-304 dla populacji z ekspresją PD-L1 $\geq 50\%$ wskazują, że stosowanie schematu TIS + PMX + P przyczyniło się do IS wydłużenia przeżycia całkowitego (OS) pacjentów w porównaniu do pacjentów stosujących P-CTH: dla mediany okresu obserwacji wynoszącej 16,1 mies. HR=0,39 (95% CI: 0,22; 0,71).

Dla okresu obserwacji

Ponadto, leczenie z zastosowaniem TIS + PMX + P w porównaniu z P-CTH przyczyniło się do IS wydłużenia przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS): HR= 0,31 (95% CI: 0,18; 0,55).

Mediana przeżycia wolnego od progresji choroby była ok. trzykrotnie dłuższa w grupie TIS + PMX + P w porównaniu z grupą kontrolną (14,6 vs 4,6 miesiąca).

Leczenie z zastosowaniem TIS + PMX + P w porównaniu z P-CTH przyczyniło się do znamiennej statystycznie poprawy ogólnej jakości życia oraz zmniejszenia nasilenia objawów choroby (jak kaszel i ból w klatce piersiowej). W grupie TIS + PMX + P w porównaniu z P-CTH wykazano znamiennej statystycznie poprawę ogólnej jakości życia pacjentów ocenioną kwestionariuszem EORTC-QLQ-C30 w 18. tygodniu leczenia.

Jednocześnie zauważenia wymaga, że badanie RATIONALE-304 było w całości przeprowadzone na populacji azjatyckiej, nie było w nim zaślepienia, a ekspresję PD-L1 $\geq 50\%$ wykazywało odpowiednio jedynie 33% i 32% pacjentów w grupie badanej i kontrolnej.

Nie znaleziono badań bezpośrednio porównujących ocenianą technologię z podstawowymi komparatorami – pembrolizumabem (PBR), atezolizumabem

(ATEZO) i cemiplimabem (CEM) stosowanymi w monoterapii, a także z cemiplimabem w skojarzeniu z chemioterapią (CEM + P-CTH).

Wyniki porównania pośredniego z ww. podstawowymi komparatorami pochodzą w szczególności z nieopublikowanych porównań pośrednich przedstawionych przez Wnioskodawcę oraz przeglądu systematycznego Chen 2023 i Girard 2025.

Nie odnaleziono badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa pacjentów otrzymujących TIS+PMX+P w leczeniu NDRP w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej.

W badaniu RATIONALE-304 leczenie schematem TIS + PMX + P w porównaniu do P-CTH (niezależnie od histologii nowotworu) wiązało się z istotnym statystycznie wzrostem ryzyka wystąpienia TEAE ≥ 3 .st., SAE, SAE uznanych za związane z leczeniem oraz TEAE prowadzących do zaprzestania terapii i TRAE ≥ 3 .st. prowadzących do zaprzestania terapii. Najczęstszymi ($\geq 15\%$) działaniami niepożądanymi ≥ 3 stopnia występującymi u pacjentów leczonych tislelizumabem w badaniu RATIONALE-304 były: neutropenia (45%), leukopenia (23%), trombocytopenia (20%), niedokrwistość (15%).

Ponadto odnaleziono badanie Li 2025, w którym zidentyfikowano zdarzenia niepożądane, które nie zostały odnotowane w ulotce leku, w tym zapalenie pęcherza moczowego o podłożu immunologicznym, zespół erytrodyzestezji dłoniowo-podeszwowej oraz potencjalnie wywołane przez tislelizumab torbiele nerkowe.

Oceniana technologia została dopuszczona przez EMA do obrotu z zastrzeżeniem konieczności dalszego, dodatkowego monitorowania oraz wymaga przedstawiania okresowych raportów o bezpieczeństwie jej stosowania.

Wytyczne ESMO 2025 r. wskazują ocenioną technologię jako zalecaną we wnioskowanym wskazaniu (IV, B), natomiast nie została ona uwzględniona w wytycznych PTOK 2025 ani NCCN 2025 (Tevimbra nie jest dopuszczona do obrotu w Stanach Zjednoczonych we wnioskowanym wskazaniu).

Problem ekonomiczny

Proponowana cena zbytu netto Tevimbra to [REDAKCYJNA] za opakowanie zawierające 1 fiolkę 100 mg (dawkowanie leku wynosi 200 mg raz na 3 tygodnie). Wnioskodawca zaproponował RSS.

Przedstawiona przez wnioskodawcę analiza nie zawiera randomizowanych badań klinicznych, dowodzących wyższości leku nad obecnie refundowanymi technologiami medycznymi.

[REDAKOWANE]. Oszacowany ICUR dla porównania TIS+PMX+P vs P-CTH, z perspektywy NFZ i wspólnej, wyniósł [REDAKOWANE] (bez RSS: 383,18 tys. zł/QALY).

[REDAKOWANE]. Oszacowany ICUR, zarówno z perspektywy NFZ i wspólnej, dla poszczególnych porównań wyniósł: TIS+PMX+P vs PBR: [REDAKOWANE] (bez RSS: 821,71 tys. zł/QALY); TIS+PMX+P vs ATEZO: [REDAKOWANE] (bez RSS: 882,16 tys. zł/QALY); TIS+PMX+P vs CEM: [REDAKOWANE] (bez RSS: 1,01 mln zł/QALY).

Wydanie pozytywnej decyzji spowoduje wzrost wydatków płatnika – w analizie podstawowej w wariancie bez RSS o 35,87 mln zł w I oraz o 127,81 mln zł w II roku refundacji, zaś w wariancie z RSS o [REDAKOWANE] w I oraz o [REDAKOWANE] w II roku refundacji.

Dane NFZ z lat 2023-2025 wskazują, iż liczebność wnioskowanej populacji systematycznie rośnie rok do roku. Należy zatem wnioskować, że liczba chorych korzystających z technologii będzie się zwiększać, co spowoduje dalszy wzrost wydatków płatnika publicznego w kolejnych latach refundacji.

Aktualnie technologia jest refundowana w 4 krajach (Austria, Niemcy, Norwegia, Hiszpania). W niemieckiej rekomendacji refundacyjnej G-Ba z 2025 r. wskazano brak dodatkowej korzyści klinicznej z uwagi na brak porównania z właściwym komparatorem, a brytyjska agencja NICE zakończyła ocenę leku Tevimbra bez wydania rekomendacji z powodu nieprzedstawienia dowodów przez podmiot odpowiedzialny.

Główne argumenty decyzji

- Brak badań bezpośrednio porównujących ocenianą technologię z podstawowymi komparatorami stosowanymi standardowo w praktyce klinicznej.
- Pojedyncze zalecenia w wytycznych klinicznych.
- Brak wyników badań rzeczywistej praktyki klinicznej.

- *Niepewny profil bezpieczeństwa.*
- *Wzrost wydatków płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OT.423.1.46.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)””; data ukończenia: 17 września 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BeOne Medicines Poland sp. z o.o.)

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BeOne Medicines Poland sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 907)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)²⁾.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: BeOne Medicines Poland sp. z o.o.

¹ podstawa prawna zakreśleń danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907)

² podstawa prawna zakreśleń w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907).