



DOR.401.16.2025.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 42/2025
w dniu 30 września 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 09:57.

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

1. Małgorzata Bała
2. Małgorzata Dziedziak
3. Paweł Grzesiewski
4. Marcin Kołakowski
5. Marcin Lipowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jacek Rubik
8. Zbigniew Siudak
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 zmiany technologii medycznej w zakresie wskazań będących podstawą kwalifikacji osób dorosłych do opieki paliatywnej i hospicyjnej.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie stężenia mitotanu w surowicy krwi” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Rybrevant (amivantamabum) w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) – 1.1. chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z aktywującymi mutacjami insercyjnymi w eksonie 20. EGFR do leczenia pierwszej linii z zastosowaniem amiwantamabu

- (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetrekselem.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Rybrevant (amivantamabum) w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) – 1.2. chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetrekselem w drugiej i kolejnych liniach leczenia (chorzy z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR trzeciej generacji).
 6. Przygotowanie stanowisk w sprawie oceny leków:
 - a) Rybrevant (amivantamabum),
 - b) Lazcluze (lazertinib),w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45) - chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. Lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem: amiwantamabu (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem w pierwszej linii leczenia.
 7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu EAA we wskazaniu: hiperamonemia.
 8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z miasta Poznania”.
 9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Gminny Program Promocji Zdrowia Psychicznego mieszkańców Gminy Boguchwała na lata 2025-2026”.
 10. 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 podsumował dane z raportu dot. opieki paliatywnej i hospicyjnej.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

Głos zabrała Aleksandra Zasada, po czym prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. oznaczania stężenia mitotanu.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak, a projekt stanowiska Rady przedstawili Aleksandra Zasada i Marcin Lipowski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Jacek Rubik i Aleksandra Zasada.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Rybrevant (1.1. chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z aktywującymi mutacjami insercyjnymi w eksonie 20. EGFR – I linia leczenia).

Rada wysłuchała stanowisk eksperta z dziedziny medycyny i przedstawiciela pacjentów, którzy zostali dopuszczeni do udziału w posiedzeniu w zakresie wszystkich ocenianych wskazań dot. leku Rybrevant. Goście odpowiadali także na pytania Rady.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Jacek Rubik i Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski, Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Rybrevant (1.2. chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR – II i kolejne linie leczenia).

Projekt stanowiska Rady przedstawili Jacek Rubik i Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady uczestniczyli Małgorzata Bała i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leków Rybrevant i Lazcluze (chorzy na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR – I linia leczenia).

a) Projekt stanowiska Rady dot. leku Rybrevant przedstawili Jacek Rubik i Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, uczestniczyli: Małgorzata Dziedziak, Zbigniew Siudak, Jacek Rubik, Tomasz Pasierski i Marcin Kołakowski.

Prowadzący zarządził głosowanie dot. leku Rybrevant, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

b) Projekt stanowiska Rady dot. leku Lazcluze przedstawili Jacek Rubik i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie dot. leku Lazcluze, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji omówił najważniejsze kwestie odnoszące się do produktu EAA.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Wobec braku głosów w dyskusji, prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji przedstawił założenia programu polityki zdrowotnej miasta Poznań z zakresu wykrywania wad wzroku.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Marcin Kołakowski, Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasiak, Paweł Grzesiewski, Marcin Lipowski i Aleksandra Zasada.

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

Ad 9. Analitik Agencji streścił projekt programu polityki zdrowotnej gm. Boguchwała z zakresu zdrowia psychicznego.

Głos zabrali Tomasz Pasierski, Marcin Lipowski i Jacek Rubik, a projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

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

Ad 10. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:17.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 126/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie oceny zasadności zmiany technologii medycznej w zakresie
wskazań stanowiących podstawę kwalifikacji osób dorosłych
do opieki paliatywnej i hospicyjnej

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną zmianę technologii medycznej w zakresie wskazań stanowiących podstawę kwalifikacji osób dorosłych do opieki paliatywnej i hospicyjnej.

Uzasadnienie

Opieka paliatywna to opieka nad pacjentami z chorobami nieuleczalnymi, szczególnie, pod koniec ich życia, która ma na celu zapobieganie cierpieniu i jego łagodzenie poprzez wczesne rozpoznawanie problemów, właściwą ocenę oraz leczenie bólu i innych dolegliwości o charakterze fizycznym, psychospołecznym i duchowym. Pierwszą grupą chorych u których podjęto opiekę paliatywną były choroby nowotworowe. W kolejnych latach została ona rozszerzona na światło o niewydolności narządowe i choroby układu nerwowego, które stanowią ok. 60% świadczeń. W Polsce, choroby nowotworowe stanowią nadal ok. 90% świadczeń opieki paliatywnej i hospicyjnej, co nie odzwierciedla demografii zachorowań i zmian generowanych przez postęp medycyny. Obecny Wykaz stanowi odwracalną barierę administracyjną przed udostępnieniem tej formy opieki umierającym i cierpiącym chorym z chorobami nienowotworowymi. W innych krajach wskazania do opieki paliatywnej opiera się na dolegliwościach pacjentów, a nie na kodyfikacji ICD. Proponowane zmiany rozszerzają dostępność do świadczeń, eliminując jednocześnie świadczenia zbędne i nadużywane.

Problem decyzyjny

Aktualny problem decyzyjny obejmuje zmiany w wykazie nieuleczalnych, postępujących, ograniczających życie chorób nowotworowych i nienowotworowych, które obejmują:

- 1) dodanie kolumny pn. „Stopień zaawansowania”,*
- 2) dodanie jednostki chorobowej: N18.0 Schyłkowa niewydolność nerek,*
- 3) zmianę zakresu wskazań nowotworowych (jest: C00-D48, będzie: C00-C97, D32-D33, D35, D37-D48),*

- 4) rozszerzenie grup chorób demielinizacyjnych o: G36 Inne rozсіяne procesy demielinizacyjne o ostrym przebiegu i G37 Inne choroby demielinizacyjne ośrodkowego układu nerwowego (jest: G35, będzie: G35-G37),
- 5) zmianę wskazań kardiologicznych: usunięcie I42-I43 Kardiomiopatia i dodanie I50 Niewydolność serca (w stopniu zaawansowania klinicznego NYHA IV) (jest: I42-I43, będzie: I50),
- 6) doprecyzowanie rozpoznania J96 tj. usunięcie J96 Niewydolność oddechowa niesklasyfikowana gdzie indziej i w to miejsce dodanie J96.1 Przewlekła niewydolność oddechowa (jest: J96, będzie: J96.1),
- 7) dookreślenie czasu leczenia dla wskazań: J96.1, I50, L89 – z ograniczeniem czasu leczenia do 180 dni w roku kalendarzowym w domowej opiece paliatywnej i do 180 dni w roku kalendarzowym w stacjonarnej opiece paliatywnej, z zaznaczeniem, iż w przypadku uzasadnionym względami medycznymi i koniecznością osiągnięcia celu leczniczego czas trwania leczenia może zostać przedłużony decyzją lekarza prowadzącego, za pisemną zgodą dyrektora właściwego oddziału wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia.

Ponadto Wnioskodawca proponuje zmianę nazwy wykazu na „Wykaz ograniczających życie chorób nowotworowych i nienowotworowych, w których są udzielane świadczenia gwarantowane z zakresu opieki paliatywnej” i wskazuje, iż powinien mieć zastosowanie do świadczeń opieki paliatywnej i hospicyjnej udzielanych w warunkach stacjonarnych i domowych.

Dowody naukowe

Wszystkie dostępne dowody naukowe wskazują na zasadność proponowanych zmian.

Problem ekonomiczny

U chorych u schyłku życia opieka paliatywna jest znacznie tańsza niż opieka szpitalna, szczególnie w oddziałach intensywnej opieki.

Znaczną barierą przed ekspansją medycyny paliatywnej jest jej tabuizacja czyli unikanie jej zarówno przez chorych i ich rodziny, jak i przez lekarzy jako równoważnej z poddaniem się nieuchronnemu wyrokowi choroby.

Wdrożenie proponowanych zmian w zakresie świadczeń realizowanych w warunkach domowych i stacjonarnych wiązałoby się ze wzrostem maksymalnie do 224 tys. osób rocznie.

Zmiany te miałyby bezpośrednie przełożenie na poziom wydatków płatnika publicznego, z uwagi na nielimitowany charakter świadczeń w ramach opieki paliatywnej i hospicyjnej.

Oszczędności w wyniku tych zmian, wynikające z mniejszych wydatków na leczenie szpitalne choć niemierzalne są potencjalnie duże.

Budżet państwa jest przygotowany nawet na wariant maksymalny w Krajowym Planie Transformacji.

Główne argumenty decyzji:

- *Niezaspokojona potrzeba humanitarna, medyczna i demograficzna.*
- *Rozwiązania sprawdzone już w wielu krajach.*
- *Zgodne wytyczne towarzystw naukowych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 pkt 3, 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 opracowania nr: DOZKiWJ.4212.1.2025 „Zmiana technologii medycznej w zakresie wskazań stanowiących podstawę kwalifikacji osób dorosłych do opieki paliatywnej i hospicyjnej”; data ukończenia: 23.09.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 127/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczenie stężenia mitotanu w surowicy krwi” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie stężenia mitotanu w surowicy krwi” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zgodnie z opisem zawartym w Karcie Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ) celem oznaczenia stężenia mitotanu w surowicy metodą chromatografii cieczowej sprzężonej ze spektrometrią mas (LC-MS/MS) jest monitorowanie terapii u pacjentów leczonych mitotanem z powodu raka kory nadnerczy.

Oznaczenie stężenia mitotanu w surowicy krwi umożliwia utrzymanie stężenia terapeutycznego leku (14–20 mg/l) oraz zapobiega jego toksyczności, przy czym uzyskanie wartości progowej 14 mg/l jest konieczne w celu uzyskania obiektywnej regresji guza. U osób dorosłych stężenie osoczone mitotanu większe niż 20 mg/l może łączyć się ze zwiększonym ryzykiem ciężkich objawów niepożądanych (szczególnie ze strony ośrodkowego układu nerwowego) nie dając jednocześnie dodatkowych korzyści w zakresie skuteczności terapii. W przypadku, gdy możliwe jest monitorowanie osocza, dawka początkowa mitotanu powinna wynosić 4-6 g na dobę w dawkach podzielonych aż do osiągnięcia dawki skumulowanej 75 g (około 15 dni). Monitorowanie stężenia osoczonego jest szczególnie zalecane u pacjentów z zaburzeniami czynności wątroby lub niewydolnością nerek, u których konieczna jest terapia mitotanem.

Rak kory nadnerczy (ICD-10: C74 Nowotwór złośliwy nadnerczy) to rzadki nowotwór złośliwy pochodzenia nabłonkowego wywodzący się z kory nadnerczy o dużej skłonności do inwazji miejscowej i przerzutów odległych. Zachorowalność na raka kory nadnerczy w Polsce, podobnie jak w innych krajach, wynosi ok. 1/1 000 000 osób. Choroba cechuje się bimodalną zależnością od wieku, tj. występowaniem dwóch wyraźnych szczytów zachorowań w różnych

przedziałach wiekowych – przed 5. rokiem życia oraz w wieku 60-69 lat. Ogólny poziom agresywności i tempo postępu choroby są szybsze w populacji dorosłych, niż u dzieci. Kobiety wydają się być bardziej narażone na rozwój tego nowotworu niż mężczyźni.

Mitotan to jedyny zarejestrowany lek o działaniu cytotoksycznym i cytostatycznym wobec kory nadnerczy. Ma wąski zakres terapeutyczny i dużą toksyczność, dlatego regularne monitorowanie jego stężenia jest niezbędne dla bezpieczeństwa pacjenta i skuteczności leczenia. Brak możliwości badania poziomu mitotanu ogranicza skuteczność terapii, zwiększa ryzyko działań niepożądanych i obniża jakość życia pacjentów.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa stosowanej interwencji włączono jedno badanie retrospektywne Wängberg 2010, w którym liczba pacjentów włączonych do badania wynosiła $n=43$. Podsumowanie wyników:

- w zakresie przeżycia 5-letniego – przeżycie specyficzne dla choroby: 64,1%; przeżycie ogólne: 52,0%, a w poszczególnych grupach:
 - pacjenci z poziomem mitotanu >14 mg/l oraz
 - nowotworem w stadium II: szacowane 5-letnie przeżycie 80,0% (6 pacjentów);
 - nowotworem w wysokim stadium (III lub IV): szacowane 5-letnie przeżycie 64,0% (18 pacjentów),
 - pacjenci z poziomem mitotanu <14 mg/l oraz
 - nowotworem w stadium II: szacowane 5-letnie przeżycie: 87,5% (8 pacjentów);
 - guzem w wysokim stadium: szacowane 5-letnie przeżycie 28,6% (11 pacjentów);
- w zakresie ryzyka zgonu – między 8. miesiącem a 4. rokiem po operacji, pacjenci z poziomem mitotanu ≥ 14 mg/l mieli istotnie niższe ryzyko zgonu z powodu raka kory nadnerczy;
- w zakresie osiągnięcia poziomu terapeutycznego mitotanu (>14 mg/l) – 65% pacjentów osiągnęło terapeutyczny poziom.

Na podstawie analizowanej publikacji można stwierdzić, iż monitorowanie poziomu mitotanu w surowicy może być pomocne w ograniczeniu działań niepożądanych, a korzystny odsetek długoterminowego przeżycia osiągnięto, gdy połączono leczenie operacyjne z podawaniem mitotanu.

Do analizy wytycznych praktyki klinicznej włączono siedem dokumentów opublikowanych w latach 2018–2025: Fassnacht 2025, NCCN 2025, Handkiewicz-

Junak 2024, Riedmeier 2024 ESMO 2020, ESE 2018, SIOPE dotyczących monitorowania stężenia mitotanu podczas leczenia raka kory nadnerczy. W odnalezionych rekomendacjach zaleca się stosowanie oznaczenia stężenia mitotanu w surowicy krwi w leczeniu raka kory nadnerczy. Wytyczne różnią się w zakresie częstości badania: co 6–9 tygodni (Fassnacht 2025), co 2–4 tygodnie aż do osiągnięcia ustabilizowanego stanu (Riedmeier 2024); raz w miesiącu (SIOPE).

Problem ekonomiczny

W analizie wpływu na budżet płatnika publicznego na podstawie informacji zawartych w KŚOZ założono, że populacja pacjentów w skali roku będzie mieścić się w przedziale od 100 do 150 osób, przy czym 50% pacjentów będzie wykonywało badania diagnostyczne co 1-2 miesiące, co przekłada się średnio na 9 badań w ciągu pierwszego roku leczenia. Pozostałe 50% pacjentów, po upływie 12 miesięcy terapii, będzie wykonywało badania rzadziej – średnio co 3 miesiące, czyli 4 badania w roku.

W oszacowaniu uwzględniono koszt jednego badania, wskazany w KŚOZ, mieszczący się w przedziale 300- 400 zł. Na tej podstawie szacowane sumaryczne roczne koszty finansowania przez płatnika publicznego analizowanego laboratoryjnego badania diagnostycznego przedstawiają się następująco:

- wariant minimalny (100 pacjentów): 195 tys. zł – 260 tys. zł rocznie,*
- wariant maksymalny (150 pacjentów): 292,5 tys. zł – 390 tys. zł rocznie*

Przy założeniu maksymalnej liczby pacjentów, tj. 150 i najwyższej częstotliwości wykonywania badań (co 1 miesiąc), koszty realizacji świadczenia mogą wynieść od 540 tys. zł do 720 tys. zł rocznie. W praktyce rzeczywiste koszty realizacji świadczenia nie powinny przekroczyć wskazanego przedziału.

W oszacowaniach własnych AOTMiT bazujących na danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ z lat 2020-2024, w analizie przyjęto populację na poziomie 150 pacjentów. Zakres częstotliwości monitorowania stężenia mitotanu jest zgodny z opinią przesłaną przez eksperta tj. 4-10 badań na rok. Przyjęto cenę jednostkową badania w wysokości 317 zł – na podstawie wyceny oszacowanej przez AOTMiT. Szacowane koszty leczenia przedstawiają się następująco:

- wariant minimalny (150 pacjentów): 190,2 tys. zł, przy wykonaniu 600 badań rocznie (krotność: 4 badania w roku),*
- wariant maksymalny (150 pacjentów): 475,5 tys. zł, przy wykonaniu 1500 badań rocznie (krotność: 10 badań w roku).*

Główne argumenty decyzji:

- Monitorowanie stężenie mitotanu jest niezbędne dla prowadzenia prawidłowego leczenia.*
- Akceptowalny wpływ na budżet płatnika publicznego.*

- *Usprawnienie leczenia chorych w poradniach endokrynologicznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.420.4.2025 „Oznaczenie stężenia mitotanu w surowicy krwi”: data ukończenia: 25.09.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 128/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu:
„Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka
opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.1

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rybrevant (amivantamab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 350 mg, 1 fiol. 7 ml., kod GTIN: 05413868120646 w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.1 chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z aktywującymi mutacjami insercyjnymi w eksonie 20. EGFR do leczenia pierwszej linii z zastosowaniem amiwantamabu (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetrekselem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu leczenie chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z aktywującymi mutacjami insercyjnymi w eksonie 20. EGFR do leczenia pierwszej linii z zastosowaniem amiwantamabu (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetrekselem.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Rybrevant, (amivantamabum) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Amiwantamab to w pełni ludzkie dwuswoiste przeciwciało na bazie IgG1 przeciwko EGFR-MET, o niskiej zawartości fukozy, o działaniu ukierunkowanym na komórki odporne na guzy z aktywującymi mutacjami EGFR, takimi jak delecje w eksonie 19, substytucja L858R w eksonie 21 i mutacje insercyjne eksonu 20. Amiwantamab wiąże się z domenami zewnątrzkomórkowymi EGFR i MET. Amiwantamab zakłóca funkcje sygnalizacyjne EGFR i MET poprzez blokowanie wiązania ligandu i wzmocnienie degradacji EGFR i MET, zapobiegając w ten sposób wzrostowi i progresji nowotworu. Obecność EGFR i MET na powierzchni komórek nowotworowych umożliwia również

nakierowywanie na te komórki w celu ich zniszczenia przez komórki efektorowe układu immunologicznego, takie jak komórki NK (ang. natural killer) czy makrofagi, odpowiednio, poprzez zależną od przeciwciał cytotoksyczność komórkową (ang. antibody-dependent cellular cytotoxicity, ADCC) i mechanizmy trogocytozy.

W analizowanej populacji chorych (EGFRex20 1L) jako komparatory dla ocenianej interwencji przyjęto następujące opcje terapeutyczne: chemioterapia dwulekowa oparta na pochodnych platyny (P-CTH), która składa się z pochodnej platyny (cisplatyna lub karboplatyna) i jednego z leków obejmujących pemetreksed, paklitaksel, docetaksel, gemcyabinę, winorelbinę lub etopozyd.

Dowody naukowe

EGFRex20 1L (badanie PAPILLON)

Skuteczność leczenia schematem AMI IV + KAR + PMX w populacji EGFRex20 1L oceniono na podstawie randomizowanego badania PAPILLON. Pierwszorzędowy PK stanowiło przeżycie wolne od progresji choroby (PFS) w ocenie niezależnej, zaślepionej komisji (BICR). Pozostałe PK uwzględnione w analizie skuteczności stanowiły: przeżycie całkowite (OS), odpowiedź na leczenie, czas trwania odpowiedzi na leczenie (DoR), czas do kolejnej terapii (TTST), przeżycie wolne od kolejnej progresji choroby (PFS2), czas do objawowej progresji choroby (TTSP) oraz eksploracyjne PK, w tym czas do przerwania leczenia (TTD).

PFS

W ocenie BICR w grupie pacjentów stosujących AMI IV + KAR + PMX wykazano redukcję ryzyka progresji choroby o 60%, w porównaniu do grupy pacjentów stosujących KAR + PMX [HR=0,40 (95%CI: 0,30; 0,53), $p<0,001$]. Mediana PFS wyniosła 11,4 msc. w grupie interwencji i 6,7 msc. w grupie kontrolnej. Cross-over z grupy KAR + PMX do monoterapii AMI objął 66% spośród 107 pacjentów z progresją.

OS

Wnioskodawca przedstawił wyniki z dostosowaniem ze względu na cross-over w badaniu i bez dostosowania. Wyniki bez dostosowania zostały przedstawione w raporcie EMA 2024 i publikacji głównej. Zarówno dla mediany okresu obserwacji 14,9 msc., jak i mediany 20,9 msc. wyniki były nieistotne statystycznie.

TTD

W grupie pacjentów stosujących AMI IV + KAR + PMX wykazano redukcję ryzyka dyskontynuacji leczenia o 62,2%, w porównaniu do grupy pacjentów stosujących KAR + PMX [HR=0,378 (95%CI: 0,283; 0,505), $p<0,0001$].

Zdarzenia niepożądane (AE)

U 151 (100%) pacjentów z grupy interwencji i u 152 (98%) pacjentów z grupy kontrolnej odnotowano wystąpienie zdarzeń niepożądanych, w tym u 114 (75%) z grupy interwencji i u 83 (54%) AE ≥ 3 . st.

Istotne statystycznie różnice na niekorzyść interwencji stwierdzono w częstości występowania: AE ≥ 3 . st. [RR=1,41 (95%CI: 1,19; 1,68)], AE prowadzących do przerwania leczenia [RR=1,91 (95%CI: 1,51; 2,41)], AE prowadzących do zmniejszenia dawkowania [RR=2,14 (95%CI: 1,53; 2,99)], AE prowadzących do zaprzestania leczenia [RR=2,31 (95%CI: 1,34; 3,98)], zdarzeń niepożądanych zaistniałych w trakcie leczenia (ang. Treatment-Emergent Adverse Events, TEAE) [RR=1,06 (95%CI: 1,02; 1,11)], TRAE ≥ 3 . st. [RR=1,80 (95%CI: 1,42; 2,28)], ciężkich zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (ang. Treatment-Related Serious Adverse Events, TRSAE) [RR=2,31 (95%CI: 1,34; 3,98)].

Wytyczne NCCN 2025 wskazują na możliwość zastosowania amiwantamabu w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem w populacji z aktywnymi mutacjami insercyjnymi w eksonie 20. EGFR.

Wytyczne PTOK 2025 nie wskazują na zastosowanie amiwantamabu we wnioskowanej populacji, jednak w ramach dokumentu dostępne są informacje na temat porównania jego skuteczności z samą ChT (PAPILLON). Wytyczne podkreślają obecny brak refundacji omawianej terapii.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie amiwantamabu w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem komparatora jest droższe i skuteczniejsze (niezależnie od RSS). W wariancie bez RSS oszacowany ICUR wyniósł 345 254 PLN/QALY. W wariancie uwzględniającym RSS ICUR wyniósł

W populacji EGFReX20 1L w wariancie z RSS wiązać będzie się to wiązać ze wzrostem wydatków płatnika publicznego o odpowiednio kilka do kilkunastu milionów PLN odpowiednio w pierwszym i drugim roku refundacji.

Odnaleziono 2 rekomendacje pozytywne (HAS) i 2 rekomendacje pozytywne warunkowo (CDA-AMC) dotyczące stosowania ww. terapii we wnioskowanych wskazaniach. W rekomendacjach jako argument wskazywano wykazaną skuteczność kliniczną interwencji. W rekomendacjach kanadyjskich jako warunek refundacji wskazano obniżenie ceny oraz spełnienie kryteriów włączenia do terapii.

Główne argumenty decyzji:

- Krótki okres obserwacji terapii.
- Brak wpływu terapii na OS oraz istotnie wyższe ryzyko występowania AE.
- Brak zaleceń PTOK i wytyczne NCCN wskazujące jedynie na możliwość zastosowania ww. terapii.
- Brak jednoznacznych decyzji refundacyjnych.

- *Wysokie koszty inkrementalne 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 OT.423.1.45.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca z mutacjami w genie EGFR”; data ukończenia: 17.09.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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) 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).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu:
„Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka
opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.2

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rybrevant (amivantamab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 350 mg, 1 fiol. 7 ml., kod GTIN: 05413868120646 w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.2 chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem w drugiej i kolejnych liniach leczenia (chorzy z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR trzeciej generacji).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu leczenie chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania dożylnego) w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem w drugiej i kolejnych liniach leczenia (chorzy z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR trzeciej generacji). Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Rybrevant, (amivantamabum) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Amiwantamab to w pełni ludzkie dwuswoiste przeciwciało na bazie IgG1 przeciwko EGFR-MET, o niskiej zawartości fukozy, o działaniu ukierunkowującym komórki odpornościowe na guzy z aktywującymi mutacjami EGFR, takimi jak delecje w eksonie 19, substytucja L858R w eksonie 21 i mutacje insercyjne eksonu 20. Amiwantamab wiąże się z domenami zewnątrzkomórkowymi EGFR i MET. Amiwantamab zakłóca funkcje sygnalizacyjne EGFR i MET poprzez

blokowanie wiązania ligandu i wzmocnienie degradacji EGFR i MET, zapobiegając w ten sposób wzrostowi i progresji nowotworu. Obecność EGFR i MET na powierzchni komórek nowotworowych umożliwia również nakierowywanie na te komórki w celu ich zniszczenia przez komórki efektorowe układu immunologicznego, takie jak komórki NK (ang. natural killer) czy makrofagi, odpowiednio, poprzez zależną od przeciwciał cytotoksyczność komórkową (ang. antibody-dependent cellular cytotoxicity, ADCC) i mechanizmy trogocytozy.

W analizowanej populacji chorych (cEGFR 2L+) jako komparatory dla ocenianej interwencji przyjęto następujące opcje terapeutyczne: chemioterapia dwulekowa oparta na pochodnych platyny (P-CTH), która składa się z pochodnej platyny (cisplatyna lub karboplatyna) i jednego z leków obejmujących pemetreksed, paklitaksel, docetaksel, gemcytabinę, winorelbinę lub etopozyd.

Dowody naukowe

cEGFR 2L+ (badanie MARIPOSA-2)

Skuteczność leczenia schematem AMI IV+KAR+PMX w populacji cEGFR 2L+ oceniono na podstawie randomizowanego badania MARIPOSA-2. Pierwszorzędowy PK stanowiło przeżycie wolne od progresji choroby (PFS) w ocenie niezależnej, zaślepionej komisji (BICR). Pozostałe PK uwzględnione w analizie skuteczności stanowiły: przeżycie całkowite (OS), odpowiedź na leczenie, czas trwania odpowiedzi na leczenie (DoR), czas do kolejnej terapii (TTST), przeżycie wolne od kolejnej progresji choroby (PFS2), czas do objawowej progresji choroby (TTSP) oraz eksploracyjne PK, w tym czas do przerwania leczenia (TTD).

PFS

Pierwszorzędownym punktem końcowym było przeżycie wolne od progresji w ocenie BICR. W grupie leczonej AMI IV + KAR + PMX zaobserwowano o 52% mniejsze ryzyko wystąpienia progresji choroby w porównaniu do grupy kontrolnej KAR + PMX. Mediana PFS została osiągnięta w obu grupach. Zaobserwowana różnica dla PFS jest istotna statystycznie.

OS

Przeżycie całkowite stanowiło drugorzędowy punkt końcowy badania MARIPOSA-2.

W grupie interwencji wykazano redukcję ryzyka zgonu o 27%, w porównaniu do grupy kontrolnej [HR=0,73 (95%CI: 16,0; 22,4), p=0,0386]. Mediana OS została osiągnięta w obu grupach. W grupie interwencji odnotowano 50% zgonów, a w grupie kontrolnej 60%.

AE

U 130 (100%) pacjentów z grupy interwencji i u 227 (93%) pacjentów z grupy kontrolnej odnotowano wystąpienie zdarzeń niepożądanych, w tym zdarzeń niepożądanych (AE) ≥ 3 . st. u odpowiednio 94 (72%) i 117 (48%) pacjentów.

Istotne statystycznie różnice pomiędzy AMI IV + KAR + PMX vs KAR + PMX odnotowano w częstości występowania: AE ogółem [RR=1,07 (95% 1,03; 1,11)] AE ≥ 3 . st. [RR=1,50 (95%CI: 1,27; 1,78)], AE prowadzących do przerwania leczenia [RR=1,94 (95%CI: 1,56; 2,41)], AE prowadzących do zmniejszenia dawkowania [RR=2,68 (95%CI: 1,86; 3,84)], AE prowadzących do zaprzestania leczenia [RR=4,98 (95%CI: 2,39; 10,40)], TRAE [RR=1,06 (95%CI: 1,02; 1,11)], TRAE ≥ 3 . st. [RR=1,80 (95%CI: 1,42; 2,28)], TRSAE [RR=2,67 (1,59; 4,47)].

Wytyczne NCCN 2025 wskazują na możliwość zastosowania amiwantamabu w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem w populacji z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR (chorzy z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR trzeciej generacji).

Wytyczne PTOK 2025 nie wskazują na zastosowanie amiwantamabu we wnioskowanej populacji, jednak w ramach dokumentu przytoczono medianę czasu przeżycia wolnego od progresji choroby z informacją, iż wystąpiła różnica znamienna na korzyść schematu z udziałem amiwantamabu (MARIPOSA-2). Wytyczne podkreślają obecny brak refundacji omawianej terapii.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie amiwantamabu w skojarzeniu z karboplatiną i pemetreksedem komparatora jest droższe i skuteczniejsze (niezależnie od RSS). W wariancie bez RSS oszacowany ICUR wyniósł 1 886 851 PLN/QALY. W wariancie uwzględniającym RSS ICUR wyniósł

W populacji cEGFR 2L+ w wariancie z RSS wiązać będzie się to wiązać ze wzrostem wydatków płatnika publicznego o kilkadziesiąt milionów PLN rocznie w każdym kolejnym roku refundacji.

Odnaleziono 2 rekomendacje pozytywne (HAS) i 2 rekomendacje pozytywne warunkowo (CDA-AMC). W rekomendacjach jako argument wskazywano wykazaną skuteczność kliniczną interwencji. W rekomendacjach kanadyjskich jako warunek refundacji wskazano obniżenie ceny oraz spełnienie kryteriów włączenia do terapii.

Główne argumenty decyzji:

- Krótki okres obserwacji terapii.
- Jedno badanie randomizowane, w którym stwierdzono istotną poprawę PFS i OS, ale także istotnie wyższe ryzyko występowania AE.
- Brak zaleceń PTOK i wytyczne NCCN wskazujące jedynie na możliwość zastosowania ww. terapii.
- Brak jednoznacznych decyzji refundacyjnych.

- *Wyjątkowo zła efektywność kosztowa.*
- *Bardzo wysokie koszty inkrementalne 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 OT.423.1.45.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu: niedrobnokomórkowy rak płuca z mutacjami w genie EGFR”; data ukończenia: 17.09.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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) 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).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 130/2025 z dnia 30 września 2025 roku

w sprawie oceny leku Rybrevant (amiwantamab) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” z wykorzystaniem amiwantamabu w skojarzeniu z lazertynibem

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Rybrevant (amivantamabum), roztwór do wstrzykiwań, 1600 mg, 1 fiol. 10 ml, kod GTIN: 05413868125801,*
- *Rybrevant (amivantamabum), roztwór do wstrzykiwań, 2240 mg, 1 fiol. 10 ml, kod GTIN: 05413868125818,*

w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.2. Chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem w pierwszej linii leczenia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Rybrevant we wskazaniu leczenie chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem w pierwszej linii leczenia.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Rybrevant jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Rejestracja leku w tym wskazaniu miała miejsce 20 stycznia 2025.

Amiwantamab (AMI) to ludzkie dwuswoiste przeciwciało na bazie IgG1 przeciwko EGFR-MET, o działaniu ukierunkowującym komórki odpornościowe na guzy z aktywującymi mutacjami EGFR, takimi jak delecje w eksonie 19, substytucja L858R w eksonie 21 i mutacje insercyjne eksonu 20. Amiwantamab wiąże się z domenami zewnątrzkomórkowymi EGFR i MET.

Amiwantamab zakłóca funkcje sygnalizacyjne EGFR i MET poprzez blokowanie wiązania ligandu i wzmocnienie degradacji EGFR i MET, zapobiegając w ten sposób wzrostowi i progresji nowotworu. Obecność EGFR i MET na powierzchni komórek nowotworowych umożliwia również nakierowywanie na te komórki w celu ich zniszczenia przez komórki efektorowe układu immunologicznego, takie jak komórki NK (ang. natural killer) czy makrofagi, odpowiednio, poprzez zależną od przeciwciał cytotoksyczność komórkową (ang. antibody-dependent cellular cytotoxicity, ADCC) i mechanizmy trogocytozy.

Lazertynib (LAZ) jest nieodwracalnym inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR (TKI). Selektynie hamuje zarówno pierwotne aktywujące mutacje EGFR (delecje eksonu 19 i mutacje substytucyjną eksonu 21 L858R), jak i mutację oporności EGFR T790M, jednocześnie wykazując mniejszą aktywność wobec EGFR typu dzikiego.

Skojarzenie amiwantamabu i lazertynibem w tym wskazaniu nigdy nie było przedmiotem oceny AOTM.

Technologiami alternatywnymi, refundowane w Polsce są monoterapie czterema inhibitorami EGFR – ozymertynibem, erlotynibem, gefitynibem oraz afatynibem. Te schematy terapeutyczne stanowią praktykę kliniczną w Polsce i dlatego uznano je za komparatory dla wnioskowanej interwencji.

Dowody naukowe

Do porównania skuteczności i bezpieczeństwa z inhibitorami EGFR wykorzystano wyniki badań MARIPOSA (badanie RCT porównujące amiwantamab w skojarzeniu z lazertynibem (n = 479) i ozymertynib w monoterapii (n = 429)) oraz FLAURA (badanie RCT porównujące ozymertynib w monoterapii (n = 279) i dwa inne inhibitory EGFR (iEGFR) tj. erlotynib i gefitynib (n = 277)). Ze względu na to, że badanie MARIPOSA dotyczyło dożylniej postaci amiwantamabu, w analizie wzięto również pod uwagę wyniki dodatkowych badań klinicznych oceniających skuteczności, bezpieczeństwa farmakokinetyki amiwantamabu podawanego podskórnie (AMI SC): badanie II fazy oceniające stosowanie amiwantamabu podskórnie w skojarzeniu z lazertynibem w populacji zgodnej z objętą wnioskiem refundacyjnym tj. w populacji cEGFR 1L (PALOMA-2) oraz badanie III fazy stanowiące podstawę rejestracji formy AMI do stosowania podskórnego, oceniające stosowanie amiwantamabu podskórnie vs dożylnie (PALOMA-3). Potwierdziły one, że postać podskórna (SC) jest nie gorsza niż postać dożylna (IV) amiwantamabu.

Skuteczność kliniczna

AMI IV + LAZ vs OZM

Wyniki uzyskane w ramach przeprowadzonego porównania wskazują na istotną statystycznie przewagę AMI IV + LAZ vs OZM w zakresie punktów końcowych:

- Czas do progresji choroby (PFS) (HR: 0,7; 95% CI: 0,58 do 0,85);

- *Przeżycie całkowite (OS) (HR: 0,75; 95% CI: 0,61 do 0,92);*
- *Czas do kolejnej progresji (PFS 2) (HR: 0,73; 95% CI: 0,59 do 0,91);*
- *Czas do objawowej progresji choroby (TTSP) (HR: 0,69; 95% CI: 0,57 do 0,83);*
- *Pełna poprawa (CR) (RR: 1,9; 95% CI: od 1,03 do 1,05).*

oraz na nieistotną statystycznie przewagę w zakresie punktu końcowego:

- *Odsetek pacjentów z potwierdzoną ogólną odpowiedzią na leczenie ORR (RR: 1,04; 95% CI: od 0,96 do 1,13).*

AMI IV + LAZ vs iEGFR



Analiza bezpieczeństwa

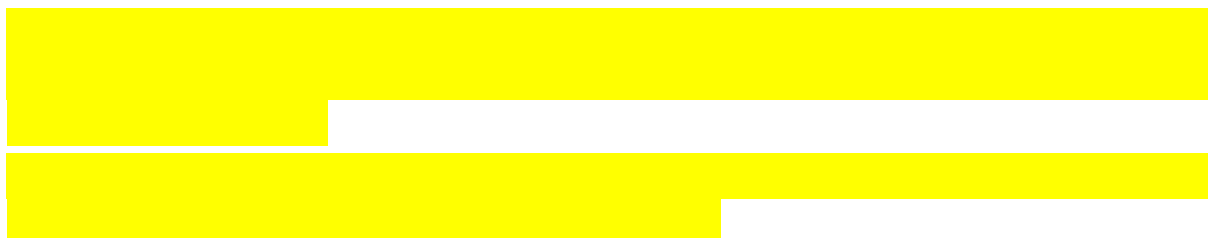
AMI IV + LAZ vs OZM

Wyniki uzyskane w ramach przeprowadzonego porównania wskazują na istotnie statystycznie wyższe ryzyko wystąpienia w grupie AMI IV + LZ zdarzeń niepożądanych takich jak:

- *AE ≥ 3 . st. (RR: 1,76; 95% CI: od 1,55 do 1,98);*
- *AE prowadzące do przerwania leczenia (RR: 2,16; 95% CI: od 1,90 do 2,45);*
- *SAE (RR: 1,46; 95% CI: od 1,23 do 1,72);*
- *TRSAE (RR: 4,11; 95% CI: od 2,68 do 6,29).*

Nie wykazano istotności statystycznej pomiędzy badanymi grupami w zakresie pozostałych analizowanych zdarzeń niepożądanych.

AMI IV + LAZ vs iEGFR



Wytyczne kliniczne

W analizie uwzględniono wytyczne opublikowanych po dacie rejestracji ocenianej interwencji, to po 20.01.2025 r. Odnaleziono 3 dokumenty: NCCN 2025, ESMO 2025 oraz PTOK 2025.

Wytyczne PTOK 2025 w leczeniu NDRP III oraz IV stadium nie wskazują na zastosowanie lazertynibu, jednak w ramach dokumentu dostępne

są informacje na temat porównania jego skuteczności z ozymertynibem (MARIPOSA) oraz w skojarzeniu z amiwantamabem i ChT vs z samą chemioterapią (MARIPOSA 2).

Wytyczne NCCN 2025 wskazują na możliwość zastosowania lazertynibu w skojarzeniu z amiwantamabem w leczeniu I linii NDRP z mutacją delecji w eksonie 19/L858R w eksonie 21. Wytyczne ESMO 2025 również rekomendują zastosowanie wnioskowanej technologii w leczeniu I linii NDRP z mutacją EGFR.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie amiwantamabu w skojarzeniu z lazertynibem w miejsce każdego z komparatorów jest droższe i skuteczniejsze (niezależnie od RSS). W wariancie bez RSS oszacowane ICUR wyniosły:

- vs OZM: 1 696 713 Zł/QALY;
- vs ELR/GEF: 1 453 027 Zł/QALY;
- vs AFA: 1 378 091 Zł/QALY.

W wariancie uwzględniającym RSS ICUR wyniosły:



Refundacja wnioskowanej interwencji w populacji cEGFR 1L w wariancie z RSS wiązać będzie się

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono dwie rekomendacje pozytywne (G-BA 2025 oraz HAS 2025) i jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA AMC 2025).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo CDA-AMC 2025 warunkiem jest, aby koszt całkowitego leczenia nie przekraczał kosztów związanych z leczeniem komparatorem (ozymertynibem w skojarzeniu z chemioterapią), oraz by pacjent zakwalifikowany do leczenia spełniał określone kryteria (brak wcześniejszego leczenia, choroba zaawansowana/przerzutowa). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na skuteczność wnioskowanej technologii w porównaniu z komparatorami oraz na wyniki badania MARIPOSA.

Rybrevant (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem nie jest finansowany w żadnym z wymienionych krajów UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji:

- Krótki okres obserwacji terapii;
- Wątpliwy profil bezpieczeństwa;

- *Bardzo wysoka cena leku i brak efektywności kosztowej;*
- *Brak jednoznacznego wsparcia w wytycznych.*

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.423.1.43.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Rybrevant (amiwantamab) we wskazaniu: pierwsza linia leczenia dorosłych pacjentów z NDRP z najczęstszymi mutacjami aktywującymi w genie receptora naskórkowego czynnika wzrostu w skojarzeniu z lazertynibem”; data ukończenia 17.09.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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) 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).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 131/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie oceny leku Lazcluze (lazertynib) w ramach programu
lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz
międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” z wykorzystaniem
amiwantamabu w skojarzeniu z lazertynibem

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Lazcluze (lazertynib), tabl. powł., 80 mg, 56 szt., kod GTIN: 05413868125795,
 - Lazcluze (lazertynib), tabl. powł., 240 mg, 28 szt., kod GTIN: 05413868125788,
- w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)” – 1.2. Chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem w pierwszej linii leczenia.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Rybrevant we wskazaniu leczenie chorych na niedrobnokomórkowego raka płuca z delecjami w eksonie 19. lub substytucją p.L858R w eksonie 21. EGFR do leczenia z wykorzystaniem amiwantamabu (w postaci do podawania podskórnego) w skojarzeniu z lazertynibem w pierwszej linii leczenia.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Lazcluze jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Lazertynib (LAZ) jest nieodwracalnym inhibitorem kinazy tyrozynowej EGFR (TKI). Selektownie hamuje zarówno pierwotne aktywujące mutacje EGFR (delecje eksonu 19 i mutacje substytucyjną eksonu 21 L858R), jak i mutację oporności EGFR T790M, jednocześnie wykazując mniejszą aktywność wobec EGFR typu dzikiego.

Skojarzenie amiwantamabu i lazertynibem w tym wskazaniu nigdy nie było przedmiotem oceny AOTM.

Technologiami alternatywnymi, refundowane w Polsce są monoterapie czterema inhibitorami EGFR – ozymertynibem, erlotynibem, gefitynibem oraz afatynibem. Te schematy terapeutyczne stanowią praktykę kliniczną w Polsce i dlatego uznano je za komparatory dla wnioskowanej interwencji.

Dowody naukowe

Do porównania skuteczności i bezpieczeństwa z inhibitorami EGFR wykorzystano wyniki badań MARIPOSA (badanie RCT porównujące amiwantanab w skojarzeniu z lazertynibem ($n = 479$) i ozymertynib w monoterapii ($n = 429$)) oraz FLAURA (badanie RCT porównujące ozymertynib w monoterapii ($n = 279$) i dwa inne inhibitory EGFR (iEGFR) tj. erlotynib i gefetynib ($n = 277$)).

Skuteczność kliniczna

AMI IV + LAZ vs OZM

Wyniki uzyskane w ramach przeprowadzonego porównania wskazują na istotną statystycznie przewagę AMI IV + LAZ vs OZM w zakresie punktów końcowych:

- Czas do progresji choroby (PFS) (HR: 0,7; 95% CI: 0,58 do 0,85);
- Przeżycie całkowite (OS) (HR: 0,75; 95% CI: 0,61 do 0,92);
- Czas do kolejnej progresji (PFS 2) (HR: 0,73; 95% CI: 0,59 do 0,91);
- Czas do objawowej progresji choroby (TTSP) (HR: 0,69; 95% CI: 0,57 do 0,83);
- Pełna poprawa (CR) (RR: 1,9; 95% CI: od 1,03 do 1,05).

oraz na nieistotną statystycznie przewagę w zakresie punktu końcowego:

- Odsetek pacjentów z potwierdzoną ogólną odpowiedzią na leczenie ORR (RR: 1,04; 95% CI: od 0,96 do 1,13).

AMI IV + LAZ vs iEGFR



Analiza bezpieczeństwa

AMI IV + LAZ vs OZM

Wyniki uzyskane w ramach przeprowadzonego porównania wskazują na istotnie statystycznie wyższe ryzyko wystąpienia w grupie AMI IV + LZ zdarzeń niepożądanych takich jak:

- AE ≥ 3 . st. (RR: 1,76; 95% CI: od 1,55 do 1,98);
- AE prowadzące do przerwania leczenia (RR: 2,16; 95% CI: od 1,90 do 2,45);
- SAE (RR: 1,46; 95% CI: od 1,23 do 1,72);

- TRSAE (RR: 4,11; 95% CI: od 2,68 do 6,29).

Nie wykazano istotności statystycznej pomiędzy badanymi grupami w zakresie pozostałych analizowanych zdarzeń niepożądanych.

AMI IV + LAZ vs iEGFR



Wytyczne kliniczne

W analizie uwzględniono wytyczne opublikowanych po dacie rejestracji ocenianej interwencji, to po 20.01.2025 r. Odnaleziono 3 dokumenty: NCCN 2025, ESMO 2025 oraz PTOK 2025.

Wytyczne PTOK 2025 w leczeniu NDRP III oraz IV stadium nie wskazują na zastosowanie lazertynibu, jednak w ramach dokumentu dostępne są informacje na temat porównania jego skuteczności z ozymertynibem (MARIPOSA) oraz w skojarzeniu z amiwantamabem i ChT vs z samą chemioterapią (MARIPOSA 2).

Wytyczne NCCN 2025 wskazują na możliwość zastosowania lazertynibu w skojarzeniu z amiwantamabem w leczeniu I linii NDRP z mutacją delecji w eksonie 19/L858R w eksonie 21. Wytyczne ESMO 2025 również rekomendują zastosowanie wnioskowanej technologii w leczeniu I linii NDRP z mutacją EGFR.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie amiwantamabu w skojarzeniu z lazertynibem w miejsce każdego z komparatorów jest droższe i skuteczniejsze (niezależnie od RSS). W wariancie bez RSS oszacowane ICUR wyniosły:

- vs OZM: 1 696 713 Zł/QALY;
- vs ELR/GEF: 1 453 027 Zł/QALY;
- vs AFA: 1 378 091 Zł/QALY.

W wariancie uwzględniającym RSS ICUR wyniosły:



Refundacja wnioskowanej interwencji w populacji cEGFR 1L w wariancie z RSS wiązać będzie się



Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono dwie rekomendacje pozytywne (G-BA 2025 oraz HAS 2025) i jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA AMC 2025).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo CDA-AMC 2025 warunkiem jest, aby koszt całkowitego leczenia nie przekraczał kosztów związanych z leczeniem komparatorem (ozymertynibem w skojarzeniu z chemioterapią), oraz by pacjent zakwalifikowany do leczenia spełniał określone kryteria (brak wcześniejszego leczenia, choroba zaawansowana/przerzutowa). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na skuteczność wnioskowanej technologii w porównaniu z komparatorami oraz na wyniki badania MARIPOSA.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Lazcluze jest finansowany w 1 kraju (Niemcy) UE i EFTA (na 30 wskazanych). Poziom refundacji ze środków publicznych wynosi 100%. W Niemczech finansowanie Lazcluze jest ograniczone do wskazania z ChPL (1L EGFR + NSCLC).

Główne argumenty decyzji

- *Krótki okres obserwacji terapii;*
- *Wątpliwy profil bezpieczeństwa;*
- *Bardzo wysoka cena leku i brak efektywności kosztowej;*
- *Finansowanie leczenia tylko w jednym państwie UE i EFTA (Niemcy);*
- *Brak jednoznacznego wsparcia w wytycznych.*

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.423.1.44.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lazcluze (lazertinib) we wskazaniu: pierwsza linia leczenia dorosłych pacjentów z NDRP z najczęstszymi mutacjami aktywującymi w genie receptora naskórkowego czynnika wzrostu w skojarzeniu z rybrawantem”; data ukończenia: 17.09.2025 r.

1. *Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.*
2. *Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.*

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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) 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).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 132/2025 z dnia 30 września 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA
we wskazaniu hiperamonemia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki we wskazaniu: hiperamonemia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena dotyczy zasadności wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA (ang. essential amino acids, niezbędne aminokwasy) proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki we wskazaniu hiperamonemia.

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA we wskazaniu hiperamonemia podlegał wcześniejszej ocenie Agencji w ramach importu docelowego w 2021 r., kiedy to uzyskał pozytywne opinie Rady Przejrzystości oraz Prezesa Agencji. W 2013 r. oceniono EAA w zawężonym wskazaniu: hiperamonemia pierwotna. Środek EAA również wtedy uzyskał pozytywne opinie Rady Przejrzystości i Prezesa Agencji.

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi w leczeniu hiperamonemii stosuje się dietę niskobiałkową, leki obniżające poziom azotu w cyklu mocznikowym, tj. benzoesan sodu lub fenylomaślan, suplementację argininy lub cytruliny, suplementację EAA.

Dowody naukowe

Do przeglądu włączono 2 badania retrospektywne Vela-Amieva 2025 i Keshavan 2021 dotyczące pacjentów z deficytem arginazy (ARG1d) leczonych dietą z niską podażą białka (w tym EAA).

W publikacji Vela-Amieva 2025 uwzględniono pacjentów (n=24) z ARG1d zdiagnozowanych na podstawie badań przesiewowych noworodków (7/24, średni wiek diagnozy 26,7 dni) oraz w późniejszym okresie życia (17/24, średni wiek diagnozy 8,8 lat). Śmiertelność w badaniu wyniosła 16,6%. W momencie diagnozy podwyższony poziom argininy obserwowano u wszystkich pacjentów

oraz amoniaku w przypadku 21/24. Dla pacjentów zdiagnozowanych w późniejszym okresie obserwowano zaburzenia chodu (100% pacjentów) oraz ogólne opóźnienie rozwoju (94%). Dla grupy NBS objawy związane ze zmienionym zachowaniem oraz opóźnienie rozwoju występowały u 57,1% pacjentów. Dietę z ograniczoną ilością białka wraz z suplementacją EAA stosowało 17/24 osób: u 11,8% (2/17) pacjentów określono stosowanie się do zaleceń jako dobre, 11,8% (2/17) jako standardowe i 76,4% (13/17) jako słabe. Odpowiedni wzrost dla wieku uzyskało 14,2% (2/14) pacjentów późno zdiagnozowanych oraz 66,7% (2/3) w grupie NBS w trakcie ostatniego pomiaru. W przypadku 4/17 pacjentów stosujących się do zaleceń żywieniowych na poziomie dobrym i standardowym obserwowano normalny wzrost (66,7% pacjentów NBS oraz 14,2% zdiagnozowanych później). Natomiast u wszystkich, którzy słabo przestrzegali zaleceń odnotowano zahamowany wzrost oraz u 4/13 poważne niedożywienie.

W retrospektywnym badaniu przedstawionym w publikacji Keshavan 2021 uczestniczyli pacjenci z ARG1d (n=6) zdiagnozowani w późniejszym okresie życia (średni wiek 8,8 lat). Zgon obserwowano u 2/6 osób z najwyższym zanotowanym stężeniem amoniaku podczas dekompensacji metabolicznej. U wszystkich pacjentów obserwowano znaczącą niepełnosprawność związaną z zaburzeniami neurologicznymi, spastyczność oraz zahamowanie wzrostu. Dobre stosowanie się do zaleceń dietetycznych obserwowano u 4/6 pacjentów, lecz trudności z ograniczeniem spożycia białka obserwowano w całej grupie. Pomimo stosowania się do zaleceń dietetycznych (dieta z niską podażą białka oraz EAA) u pacjentów obserwowano podwyższony poziom argininy, dekompensacje metaboliczne oraz niski poziom EAA we krwi. Na uwagę zasługuje przypadek 2 pacjentów, którzy przez 5 lat słabo stosowali się do zaleceń dietetycznych oraz terapii lekowej, co skutkowało znaczącym pogorszeniem się choroby. Po wznowieniu leczenia obserwowano u nich poprawę w zdolności poruszania się.

Na podstawie wniosków autorów badań, dane wskazują, iż wcześniejsza diagnoza i stosowanie się do zaleceń dietetycznych (diety ubogiej w białko wraz z suplementacją EAA) prowadzi do lepszych wyników zdrowotnych w ARG1d: wyższy wzrost, mniejsze zaburzenia w poruszaniu się, lepszy poziom odżywienia oraz łagodniejsze zaburzenia rozwoju.

Jako ograniczenie analizy należy wskazać niską jakość badań oraz niewielkie grupy pacjentów (24 oraz 6). Żadna z publikacji nie przedstawiła analizy bezpieczeństwa EAA.

Nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych. Poprzednio uwzględnione wytyczne wskazywały na zasadność suplementacji EAA u osób z hiperamonemią w przypadku zbyt niskiej tolerancji na białka pochodzące z żywności. Stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka.

Problem ekonomiczny

ŚSSPŻ EAA jest obecnie finansowany ze środków publicznych w ramach importu docelowego we wskazaniu hiperamonemia. Oszacowany wpływ na wydatki z perspektywy NFZ wyniesie ok. 115 tys.

Główne argumenty decyzji:

- *Postępowanie zgodne z rekomendacjami.*
- *Akceptowalne wydatki dla płatnika publicznego.*
- *Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.11.2025 Aneks do opracowania: OT.4211.34.2021 „EAA we wskazaniu: hiperamonemia”; data ukończenia: 24.09.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 182/2025 z dnia 30 września 2025 roku
o projekcie programu „Program Profilaktyki Zdrowotnej z zakresu
wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z miasta Poznania”
realizowany przez: Miasto Poznań

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Profilaktyki Zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z miasta Poznania” realizowany przez: Miasto Poznań.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Poznań: „Program Profilaktyki Zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z miasta Poznania”. Planowany termin wdrożenia programu i okres jego realizacji: lata 2025-2026.

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 547 200 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu miasta Poznań.

Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie o 5% skuteczności wczesnego wykrywania wad wzroku lub chorób oczu w populacji docelowej poprzez przeprowadzone w ramach Programu interwencje diagnostyczne” oraz „edukacja rodziców w zakresie profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku”. Projekt PPZ posiada ponadto jeden cel szczegółowy, odnoszący się do wzrostu lub utrzymania wysokiego poziomu wiedzy u uczestników PPZ korzystających z działań informacyjno-edukacyjnych.

Populację docelową programu stanowią uczniowie klas VI (dzieci w wieku 12-13 lat), z miejscem zameldowania lub zamieszkania na terenie miasta Poznań. Badanie przesiewowe objąć ma 4 640 dzieci, a II etap Programu (etap pogłębionej diagnostyki) - 464. Populację docelową stanowią także rodzice/opiekunowie prawni dzieci oraz nauczyciele w ramach działań informacyjno-edukacyjnych. Należy jednak zaznaczyć, że nie określono ich liczebności.

W zakresie planowanych interwencji PPZ przewiduje:

- *działania informacyjno-edukacyjne w formie filmu edukacyjnego oraz ulotek skierowanych do trzech grup odbiorców: rodziców i opiekunów prawnych dzieci, nauczycieli klas VI szkół podstawowych oraz dzieci. Treść ww. działań ma objąć między innymi informacje na temat rodzajów wad wzroku, czynników ryzyka ich występowania, objawów, sposobów diagnozowania i leczenia, a także zasad profilaktyki, w tym higieny wzroku. Materiały przeznaczone dla rodziców i opiekunów prawnych oraz nauczycieli będą zawierały wskazówki dotyczące prowadzenia edukacji zdrowotnej wśród dzieci. W szczególności znajdują się w nich treści odnoszące się do zasad korzystania z urządzeń elektronicznych takich jak telefon, tablet czy komputer, organizacji czasu wolnego, prawidłowego żywienia, zgłaszania ewentualnych problemów ze wzrokiem oraz znaczenia badań przesiewowych. W PPZ wskazano również, że ulotki dla dzieci zostaną przygotowane z wykorzystaniem ikonografii i prostych komunikatów dostosowanych do ich wieku i percepcji. Materiały zostaną także udostępnione w wersji elektronicznej na stronie internetowej wykonawcy programu oraz w e-dzienniku dla rodziców i opiekunów prawnych dzieci;*
- *badania przesiewowe wzroku. W ramach I etapu przewidziane są badania przesiewowe obejmujące: badanie ostrości widzenia do dali i bliży z wykorzystaniem przenośnych tablic Snellena, ocenę położenia gałek ocznych (cover i uncover test) oraz ocenę widzenia barw. Rodzice/opiekunowie prawni dzieci, które wezmą udział w I etapie, otrzymają informacje o wynikach badań. W przypadku wyniku prawidłowego rodzice/opiekunowie zostaną poinformowani o zaleceniach dotyczących dalszych działań profilaktycznych. Natomiast w przypadku wyniku nieprawidłowego uzyskają informację o zakwalifikowaniu dziecka do II etapu programu;*
- *badania pogłębione. II etap obejmuje pogłębioną diagnostykę wzroku. Badania realizowane w tym etapie to: badanie ostrości widzenia przy użyciu tablic Snellena, badanie refrakcji z wykorzystaniem autorefraktometru (po porażeniu akomodacji), badanie przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej oraz badanie dna oka. Podkreślono, że w przypadku wykrycia u dziecka wady wzroku rodzic/opiekun prawny zostanie poinformowany o zaleceniach dotyczących dalszego postępowania w ramach świadczeń finansowanych przez NFZ.*

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie kampanii informacyjnej o programie.

W projekcie PPZ wnioskodawca opisał problem zdrowotny, którego dotyczy planowany PPZ. Projekt posiada cel główny oraz jeden cel szczegółowy. W ramach projektu jego autor wskazał na kryteria włączenia do projektu (brak jest natomiast kryteriów wyłączenia z programu). W projekcie programu zaproponowano 1 miernik efektywności. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

W projekcie wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że dotyczy on problemu zdrowotnego jakim są wady wzroku wśród dzieci.

Proces rozwoju widzenia u dziecka jest dynamiczny, a najważniejszy, krytyczny okres, przypada na pierwsze dwa lata życia. W przeciwieństwie do osób dorosłych, dzieci z jednostronnym, jak również z obustronnym upośledzeniem widzenia, mogą dobrze funkcjonować oraz nie sygnalizować zaburzeń w tym zakresie. Nieprawidłowości narządu wzroku u dzieci najczęściej pozostają przez długi czas bezobjawowe. Główną przyczyną zaburzeń widzenia w dzieciństwie są wady refrakcji, odpowiedzialne za 56-94% przypadków niedowidzenia. Rodzaj wady wzroku występującej u dzieci jest związany z wiekiem. Wśród niemowląt przeważa nadwzroczność, stopniowo zmniejszająca się, aż do osiągnięcia normowzroczności. Wczesne osiągnięcie normowzroczności jest czynnikiem ryzyka rozwoju krótkowzroczności. W zależności od rodzaju wady refrakcji i wieku w jakim występuje, powstają różnego rodzaju utrudnienia funkcjonowania i rozwoju ogólnego. Niewyrównane wady refrakcji mogą powodować u dzieci i młodzieży opóźnienia rozwojowe, problemy społeczne, zaburzenia w orientacji przestrzennej, a także słabsze wyniki w nauce.

Należy zaznaczyć, że pomimo braku wystarczającej liczby odpowiedniej jakości dowodów wskazujących na zasadność prowadzenia badań przesiewowych wzroku wśród dzieci, niektóre towarzystwa naukowe, a także eksperci kliniczni, zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej. Rekomendacje dot. wieku w jakim powinno się wykonywać badania przesiewowe są jednak bardzo zróżnicowane. Zaplanowana przez wnioskodawcę populacja częściowo znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach (PTO/PTP 2020). Jeśli zaś chodzi o zakres zaplanowanych do przeprowadzenia badań należy wskazać, że znajdują one odzwierciedlenie w rekomendacjach.

Świadczenia w zakresie diagnostyki i leczenia wad wzroku u dzieci są finansowane ze środków publicznych, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych

z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej oraz rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Należy zaznaczyć, że w mieście Poznań funkcjonują cztery podmioty lecznicze realizujące umowę z NFZ na świadczenia w zakresie okulistyki dla dzieci. Wnioskodawca, uzasadniając zasadność realizacji ocenianego PPZ, nie wskazał na problemy w dostępie do świadczeń opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych w ww. zakresie, podał natomiast inne powody, w tym prognozowany w Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wzrost wartości chorobowości w 2028 r. w odniesieniu do 2019 r. w przypadku chorób narządów zmysłów (o ponad 2 874,08 na 100 tys. ludności, 9,98%), w tym m.in. chorób narządu wzroku.

Główne argumenty decyzji:

- PPZ nie zawiera kryteriów wyłączenia, w tym, w celu uniknięcia podwójnego finansowania świadczeń, Wnioskodawca nie zastrzegł, jako kryterium wyłączającego z udziału w programie, wcześniej stwierdzonej wady wzroku u dziecka lub skorzystania ze świadczeń zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych w analogicznym zakresie w określonym czasie przed zgłoszeniem do PPZ.*
- Projekt przewiduje realizację działań informacyjno-edukacyjnych, jednak nie przewidziano przeprowadzania weryfikacji skuteczności tych działań w postaci pre- i post-testów.*
- Projekt nie zawiera spójnego i wyodrębnionego opisu etapów programu oraz działań podejmowanych w ramach poszczególnych etapów.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.431.10.2025 „Program Profilaktyki Zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z miasta Poznania”; data ukończenia: wrzesień 2025 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 183/2025 z dnia 30 września 2025 roku
o projekcie programu „Gminny program promocji zdrowia
psychicznego mieszkańców Gminy Boguchwała na lata 2025-2026”
realizowany przez: Gminę Boguchwałę

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Gminny program promocji zdrowia psychicznego mieszkańców Gminy Boguchwała na lata 2025-2026” realizowany przez: Gminę Boguchwałę.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Boguchwałę, zakładający przeprowadzenie zajęć psychoedukacyjnych w szkołach, warsztatów umiejętności społecznych i emocjonalnych, zajęć grupowych wspierających rozwój emocjonalny, konsultacji z wychowawcami oraz działań skierowanych do rodziców. Program ma być realizowany w latach 2025-2026. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 60 000 zł. Program ma być finansowany z budżetu Gminy Boguchwała.

Oceniany projekt PPZ odnosi się do istotnego problemu zdrowotnego jakim jest zdrowie psychiczne dzieci i młodzieży. Wnioskodawca wskazuje, że problemy natury psychicznej pojawiają się już we wczesnym wieku i mają tendencję do pogłębiania się, jeżeli nie zostaną odpowiednio wcześnie rozpoznane i zaadresowane. Wskazano, że do najczęściej diagnozowanych problemów w szkołach należą: zaburzenia lękowe i depresyjne, trudności z regulacją emocji i agresją, uzależnienia od smartfonów, gier komputerowych i mediów społecznościowych, niskie poczucie własnej wartości, wycofanie społeczne, trudności w budowaniu relacji, zachowania autoagresywne i objawy wypalenia emocjonalnego, a także rosnąca liczba nieobecności szkolnych związanych z objawami psychosomatycznymi. Wnioskodawca zaznaczył także, że niepokojącym trendem jest coraz wcześniejszy wiek pierwszych objawów depresji oraz wzrost prób samobójczych już u uczniów szkół podstawowych. Wnioskodawca wskazał, że „na poziomie lokalnym, mimo braku szeroko zakrojonych badań populacyjnych w Gminie Boguchwała, dane jakościowe – zbierane w rozmowach z dyrektorami szkół, psychologami szkolnymi

i pedagogami – potwierdzają występowanie podobnych problemów w środowisku uczniowskim”.

Należy zaznaczyć, że wnioskodawca przedkładał już podobny projekt do opinii Rady. Opinii Prezesa AOTMiT nr 66/2025 z dnia 23 lipca 2025 r. tak jak i stanowisko Rady były negatywne i wskazywały aplikantowi obszary wymagające korekt. Pomimo, że wnioskodawca uwzględnił część uwag to nadal wiele obszarów wymaga poprawy:

- „Odnosnie uwagi dotyczącej: prawidłowego zaplanowania celu głównego, szczegółowych, a także mierników efektywności”.- Uwzględniono częściowo (cele zostały częściowo przeformułowane, mierniki również, jednak w dalszym ciągu cel główny, część celów szczegółowych i mierników wymaga dopracowania).
- „Odnosnie uwagi dotyczącej: jednoznacznego wskazania jakie grupy stanowią populację docelową”. - Uwzględniono częściowo (wskazano, że do programu włączone zostaną dzieci i młodzież poniżej 18 r.ż. „w szczególności” klas 7 i 8). W opisie interwencji wskazano na rodziców i kadrę pedagogiczną. Jednak nie jest jasne, czy do programu włączeni zostaną wychowawcy czy też wychowawcy i pedagodzy.
- „Odnosnie uwagi dotyczącej: przedstawienia szczegółowego opisu działań zaplanowanych w programie oraz wskazania jednoznacznego planu interwencji, przypadającego na jednego uczestnika”. - Uwzględniono częściowo (doprecyzowano opis interwencji wskazując na jej formę oraz wymiar czasowy. W ramach opisu kryteriów włączenia zaplanowano natomiast dodatkowo badania przesiewowe, gdzie nie jest jasne jakie warunki muszą zostać spełnione, aby badania były realizowane).
- „Odnosnie uwagi dotyczącej: wskazania jasno sprecyzowanego i jednoznacznego planu interwencji, który będzie zgodny z wytycznymi klinicznymi”. - Uwzględniono częściowo (zapis dot. interwencji w dalszym ciągu wymaga doprecyzowania).

Ponownie oceniany projekt nadal wymaga licznych korekt tak, aby odpowiadał on wymaganiom stawianym programom polityki zdrowotnej i mógł otrzymać pozytywną ocenę Rady.

Poniżej wskazano obszary, które bezwzględnie wymagają korekt i uzupełnień:

Cel główny i cele szczegółowe:

Cel główny składa się z dwóch odrębnych założeń. Założenie pierwsze odnosi się do zwiększenia skuteczności wczesnego rozpoznawania problemów psychicznych. Wnioskodawca nie zaplanował kompleksowych badań przesiewowych dla wszystkich uczestników programu. Zaplanowano natomiast „wczesną diagnozę” poprzez obserwację dzieci i młodzieży przez wychowawców i psychologów i na tej podstawie kierowanie dzieci do dalszych form wsparcia

w ramach programu. Należy jednak zaznaczyć, że tak sformułowany cel nie odnosi się do efektu zdrowotnego. W projekcie nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych dla celu głównego.

Cel szczegółowy nr 2 został sformułowany nieprawidłowo, w formie działania.

Cel szczegółowy nr 3 odnosi się do zwiększenia zaangażowania kadry pedagogicznej oraz rodziców dzieci i młodzieży uczestniczących w projekcie. Nie doprecyzowano natomiast jak rozumiane będzie „zwiększenie zaangażowania” oraz nie wskazano za pomocą jakiego narzędzia będzie mierzone. Do projektu nie załączono także przykładowego testu odnoszącego się do pomiaru zaangażowania kadry pedagogicznej oraz rodziców. Nie przedstawiono uzasadnienia dla wskazanych wartości docelowych przy celach szczegółowych.

Mierniki efektywności:

Wskaźnik nr 1 został zaprojektowany w sposób niepoprawny. Wskaźniki nr 2, 3, 5, 6, 7, 8 nie spełniają funkcji miernika efektywności, mogą natomiast zostać wykorzystane przy monitorowaniu.

Populacja docelowa:

Opisując kadrę pedagogiczną wskazano na „kwestionariusz dla wychowawców i pedagogów szkolnych” (str. 13 projektu) oraz „konsultacje z wychowawcami” (str. 14 projektu). Nie jest zatem jasne czy do udziału w programie zaproszeni będą wychowawcy czy też wychowawcy i pedagodzy szkolni.

Kryteria kwalifikacji:

Nie przedstawiono szczegółowych kryteriów włączenia i kryteriów wyłączenia dla dzieci i młodzieży.

Nie przedstawiono kryteriów włączenia/wyłączenia dla kadry pedagogicznej.

Wskazano, że „w razie potrzeby możliwa jest dodatkowa selekcja do programu i badania przesiewowe”. Nie jest natomiast jasne jakie okoliczności będą brane pod uwagę przy przeprowadzeniu ww. badań przesiewowych.

Planowane interwencje:

Interwencja przedstawiona w projekcie w dalszym ciągu została przedstawiona w sposób wymagający doprecyzowania.

Konsultowanie wyników testów wiedzy oraz testu dot. postaw z wychowawcami dzieci i młodzieży wydaje się niezasadne.

W ramach programu nie zaplanowano „wsparcia indywidualnego” jako możliwej formy interwencji, które zostało wskazane przy konsultacjach z wychowawcami.

Monitorowanie i ewaluacja:

Jeden z przedstawionych wskaźników w ramach monitorowania odnosi się bardziej do ewaluacji. Natomiast dwa zostały sformułowane nieprawidłowo.

Dwa przedstawione wskaźniki w ramach ewaluacji odnoszą się bardziej do monitorowania. Natomiast jeden wskaźnik został zaprojektowany nieprawidłowo.

Przy tak niewielkiej liczbie prawidłowo zaplanowanych mierników efektywności kompleksowa ewaluacja programu może okazać się utrudniona.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.431.11.2025 „Gminny program promocji zdrowia psychicznego mieszkańców Gminy Boguchwała na lata 2025-2026”; data ukończenia: wrzesień 2025 r. oraz Aneksiem do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.