



DOR.401.4.2025.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 44/2025
w dniu 13 października 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 09:01.

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

1. Artur Bachta
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Małgorzata Dziedziak
4. Paweł Grzesiewski
5. Roman Junik
6. Marcin Kołakowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Tomasz Pasierski
9. Zbigniew Siudak
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 Imfinzi (durvalumabum) w ramach programu lekowego: B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Evrysdi (risdiplamum) w ramach programu lekowego: B.102.FM. „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności umieszczenia na liście, o której mowa w art. 30a ustawy o refundacji, produktów z wykazu dotyczącego leków we wskazaniach ginekologicznych, endokrynologicznych, diabetologicznych oraz reumatologicznych, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których nie złożono wniosku o objęcie refundacją i upłynęła wyłączność rynkowa.

5. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów w zakresie profilaktyki obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi.
6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.129.FM „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Vita we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt LCHAD; deficyt VLCAD; deficyt dehydrogenazy pirogronianu; deficyt GLUT 1.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu i wzroku u dzieci zamieszkujących województwo mazowieckie”.
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Złap balans – program emocjonalnego wsparcia i profilaktyka zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży za szkół Powiatu Żarskiego na lata 2026-2027”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej azithromycinum we wskazaniu: mukowiscydoza.
11. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności kontynuacji refundacji we wskazaniach pozarejestacyjnych dla substancji czynnej methotrexatum we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL.
12. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zgłosił konflikt interesów w odniesieniu do leku Evrysdi, w związku z czym Rada uznała za zasadne wyłączenie go w głosowania w zakresie pkt. 3. porządku obrad – jego głos traktowany będzie jako wstrzymujący.

Tomasz Pasierski zgłosił konflikt interesów w odniesieniu do leku Imfinzi, w związku z czym Rada uznała za zasadne wyłączenie go w głosowania w zakresie pkt. 2. porządku obrad – jego głos traktowany będzie jako wstrzymujący.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Imfinzi.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Roman Junik i Małgorzata Dziedziak.

Rada wysłuchała stanowisk ekspertów z dziedziny medycyny i przedstawicieli pacjentów, dopuszczonych do wzięcia udziału w posiedzeniu. Goście odpowiadali także na pytania Rady.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Artur Bachta i Roman Junik, a przedstawił Roman Junik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak, Marcin Kołakowski, Artur Bachta i Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje o leku Evrysdi.

Rada wysłuchała stanowisk ekspertów z dziedziny medycyny, dopuszczonych do wzięcia udziału w posiedzeniu, którzy odpowiadali także na pytania Rady. Rada wysłuchała także stanowiska przedstawiciela pacjentów, dopuszczonego do wzięcia udziału w posiedzeniu

Projekt stanowiska Rady przygotowały Anna Czerniecka-Kubicka i Aleksandra Zasada, a przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Anna Czerniecka-Kubicka i Marcin Kołakowski.

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

Ad 4. Analitik Agencji omówił kwestie odnoszące się do wykazu leków we wskazaniach ginekologicznych, endokrynologicznych, diabetologicznych oraz reumatologicznych.

Projekt opinii Rady przygotowała Ewa Obuchowicz.

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

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. zalecanych technologii medycznych dot. profilaktyki obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Tomasz Pasierski przekazał prowadzenie posiedzenia Marcinowi Kołakowskiemu i opuścił posiedzenie.

Ad 6. Analitik Agencji omówił zmiany proponowane w programie lekowym B.129.FM.

Projekt opinii Rady przedstawił Zbigniew Siudak.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Vita.

Głos zabrali Małgorzata Dziędziak i Marcin Kołakowski, a projekt stanowiska Rady przedstawił Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady udział wzięli: Marcin Kołakowski, Zbigniew Siudak, Ewa Obuchowicz i Małgorzata Dziędziak.

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

Ad 8. Analitik Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej woj. mazowieckiego z zakresu wad słuchu i wzroku.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitik Agencji streścił projekt programu polityki zdrowotnej pow. żarskiego z zakresu zaburzeń depresyjnych.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii Rady dot. substancji czynnej azithromycinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Artur Bachta przedstawił projekt opinii Rady dot. substancji czynnej methotrexatum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 12. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:47.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 140/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie oceny leku Imfinzi (durwalumab) we wskazaniu: leczenie
konsolidujące w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych
na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej
(ICD-10 C45)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imfinzi (durwalumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 1 fiol., GTIN 05000456031493, we wskazaniu: leczenia konsolidujące chorych z ograniczoną postacią drobnokomórkowego raka płuca w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem zaproponowania jeszcze korzystniejszego instrumentu dzielenia ryzyka zmniejszającego duży wpływ na wydatki płatnika publicznego.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją leku Imfinzi (durwalumab) w leczeniu konsolidującym chorych z ograniczoną postacią drobnokomórkowego raka płuca w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”. Wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Durwalumab jest przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z ligandem programowanej śmierci komórki 1 (PD-L1). Blokując interakcję PD-L1 z receptorami PD-1 i CD80, wzmacnia odpowiedź układu odpornościowego przeciwko komórkom nowotworowym. Lek niedawno uzyskał dopuszczenie przez FDA i EMA w w/w wskazaniu. Drobnokomórkowy rak płuca (SCLC) jest agresywny, stanowi 10-15% nowo rozpoznanych przypadków raka płuca (2-3 tysięcy przypadków rocznie). Objawy są nietypowe, wzrost szybki, złośliwość wysoka, przerzuty wczesne. Chorzy są diagnozowani w późnym stadium. Najczęściej są to mężczyźni

powyżej 60 r.ż., aktualni lub byli palacze. Mniej niż 5% chorych przeżywa 5 lat. Leczenie to chemio- i radioterapia, nawroty w ciągu 1-2 lat są częste.

Nie ma alternatywnej, refundowanej technologii lekowej w stosunku do wnioskowanej.

Dowody naukowe

Wyniki skuteczności durwalumabu zostały przedstawione w RCT ADRIATIC dla 264 badanych, a komparatorem było placebo (PLC) – 266 chorych. Wykazano istotną statystycznie redukcję ryzyka zgonu o 27% względem grupy PLC ($HR=0,73$; 95%CI: 0,57; 0,93, $p=0,01$). U chorych leczonych durwalumabem stwierdzono wydłużenie mediany przeżycia całkowitego (OS) o 22 miesiące (55,9 vs 33,4 mies.). Odsetki przeżycia 2 i 3-letniego były wyższe w grupie badanej (68% vs 58,5% i 56,5% vs 47,6% odpowiednio).

Leczenie durwalumabem zmniejszało ryzyko progresji o 24% ($HR=0,76$; 95%CI: 0,61; 0,95; $p=0,02$). Wydłużył się czas przeżycia wolny od progresji (PFS), mediana 16,6 mies. vs 9,2 mies.

Całkowita odpowiedź na leczenie (ORR) początkowo nie była istotna statystycznie, ale po roku była większa w grupie leczonej durwalumabem (73,7% vs 60,3%, efekt ten utrzymywał się również po 18 miesiącach). Również mediana czasu odpowiedzi na leczenie (DOR) była dłuższa (33 mies. vs 27,7 mies.).

W badaniu jakości życia leczenie wiązało się z dwukrotnie wyższą poprawą odczuwania bólu w klatce piersiowej, [REDACTED]

Badanie było wiarygodne, ale miało ograniczenia. Tylko 36% populacji pochodziło z rejonu europejskiego, dużo badanych utracono z powodu agresywności raka, brak danych z rzeczywistej praktyki klinicznej.

Bezpieczeństwo terapii konsolidującej durwalumabem, biorąc pod uwagę agresywny charakter SCLC, było akceptowalne. Częstość zgonów spowodowanych zdarzeniami niepożądanymi (AEs) w obu grupach nie przekraczała 3%. AEs występowały częściej w grupie leczonej durwalumabem: o podłożu immunologicznym (32% vs 10%; OR 4,16, $p<0,001$). W grupie leczonej częściej obserwowano też choroby tarczycy, płuc, zakażenie górnych dróg oddechowych, objawy ze strony układu pokarmowego.

Dodatkowo, poza RCT ADRIATIC, istnieje przegląd Nabipur 2025 dotyczący zastosowań inhibitorów PD-L1, w tym durwalumabu. Ze względu na bardzo niską jakość nie został uwzględniony.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne kliniczne zalecają, żeby u chorych z SCLC w stadium ograniczonym, którzy ukończyli równoczesną chemioradioterapię (CRT) oraz u których nie występuje progresja choroby, należy zaproponować immunoterapię

konsolidacyjną durwalumabem, jeżeli nie ma przeciwwskazań do immunoterapii (kategoria I A, PTOK 2025, NCCN 2025, NCI 2025, ASCO 2024).

Problem ekonomiczny

Wg Eksperta Klinicznego chorych z w/w rozpoznaniem jest 520 rocznie, z tego 250 pacjentów kwalifikuje się do chemioradioterapii (CRT), a niektórzy będą mieli przeciwwskazania do immunoterapii – ok. 10%.

Efekt (QALY) dla durwalumabu 5,24; dla PLC (aktywna obserwacja) 4,01.

Z RSS koszt leczenia [] zł vs [] zł, koszt inkrementalny [] zł, ICUR (zł/QALY) [] zł.

Prognozowany wpływ na budżet płatnika w roku I, II i III z RSS wyniesie odpowiednio: []

Rekomendacje refundacyjne

CDA-AMC Kanada 2025: rekomendacja pozytywna pod warunkiem obniżenia ceny leku.

Główne argumenty decyzji:

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna w bardzo źle rokującej chorobie.*
- *Korzystne wyniki badania naukowego.*
- *Wytyczne kliniczne.*

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: DAS.423.1.4.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Imfinzi (durwalumab) we wskazaniu: leczenie konsolidujące w ramach programu lekowego B.6 »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)«”; data ukończenia: 01.10.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. *Opinie ekspertów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.*
2. *Opinie przedstawicieli pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.*

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 141/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie oceny leku Evrysdi (rysdyplam) w ramach programu
lekowego B.102.FM. „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni
(ICD-10: G12.0, G12.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Evrysdi (rysdyplam), tabletki powlekane, 5 mg, 28 tabl., GTIN: 07613326078528, w ramach programu lekowego B.102.FM. „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rdzeniowy zanik mięśni (SMA) jest nerwowo-mięśniową, neurodegeneracyjną chorobą, należącą do grupy zaburzeń genetycznych, charakteryzujących się zwyrodnieniem komórek rogu przedniego rdzenia kręgowego i prowadzących do osłabienia i zaniku mięśni. Jest ona chorobą rzadką.

Rdzeniowy zanik mięśni jest drugim najczęściej występującym schorzeniem autosomalno-recesywnym oraz stanowi jedną z najczęstszych uwarunkowanych genetycznie przyczyn zgonów wśród dzieci.

W około 95% przypadków przyczyną rdzeniowego zaniku mięśni jest mutacja genu SMN1, polegająca na homozygotycznej delecji w obrębie długiego ramienia chromosomu piątego regionu 1, prążka 3 (5q13). Choroba może być także spowodowana mutacją o charakterze substytucji lub małych delecji w innych genach, co zaburza ich prawidłową ekspresję. Mutacje te występują u pozostałych 5% chorych. W takich przypadkach chorobę tą klasyfikuje się jako non-5q-SMA.

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Evrysdi (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych w ramach istniejącego programu lekowego B.102.FM. „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)”.

Rysdyplam (RYS) jest modyfikatorem składania pre-mRNA genu warunkującego przeżycie motoneuronów 2 (SMN2) opracowanym w celu leczenia

SMA powodowanego przez mutacje genu SMN1 w chromosomie 5q, które prowadzą do niedoboru białka SMN. Niedobór funkcjonalnego białka SMN jest bezpośrednio powiązany z patofizjologią SMA, która obejmuje postępującą utratę motoneuronów i osłabienie mięśni. Rysdyplam koryguje składanie SMN2, aby przesunąć równowagę z pomijania eksonu 7 w kierunku włączania eksonu 7 do transkryptu mRNA, prowadząc do zwiększonego wytwarzania funkcjonalnego i stabilnego białka SMN. Tym samym rysdyplam leczy SMA poprzez zwiększanie i podtrzymanie stężenie funkcjonalnego białka SMN.

Celem ocenianego wniosku refundacyjnego jest wprowadzenie do refundacji leku Evrysdi (rysdyplam), pod postacią doustnych tabletek powlekanych 5 mg – do stosowania u pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni w wieku ≥ 2 lat i o masie ciała ≥ 20 kg. Aktualnie w Polsce ten lek jest refundowany pod postacią proszku do sporządzania roztworu doustnego (ocena AWA nr: OT.423.1.11.2024). Dobową dawkę produktu leczniczego Evrysdi ustala się według wieku i masy ciała chorych i w przypadku chorych w wieku ≥ 2 lat o masie ciała ≥ 20 kg, zalecana dawka dobową wynosi 5 mg. W związku z powyższym wprowadzenie do refundacji RYS pod postacią tabletki, uzupełni aktualnie dostępne opcje leczenia.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono: jedno randomizowane badanie kliniczne BP42066, dotyczące oceny biorównoważności RYS w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego oraz tabletek powlekanych; dwa badania eksperymentalne: SUNFISH i JEWELFISH, których celem była ocena skuteczności klinicznej RYS oraz osiem badań RWD: Sitas 2024, Ashrafi 2024, Bekircan-Kurt 2025, Brakemeier 2024, Hahn 2022, Kwon 2022, Cornell 2024, Albamonte 2025; oceniających skuteczność i bezpieczeństwo RYS stosowanego w ramach rzeczywistej praktyki.

Należy zwrócić uwagę, iż celem niniejszego wniosku refundacyjnego jest wprowadzenie do refundacji RYS w postaci tabletek powlekanych, w związku z czym podstawowym badaniem porównawczym jest BP42066.

Jest to randomizowane badanie kliniczne dotyczące oceny biorównoważności RYS w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego oraz tabletek powlekanych. Zostało ono przeprowadzone na zdrowych dorosłych ochotnikach. Względem analizy bezpieczeństwa nie raportowano nowych sygnałów dotyczących bezpieczeństwa (ang. safety signals) terapii RYS. W części pierwszej badania nie raportowano również klinicznie istotnych nieprawidłowości w wynikach badań laboratoryjnych. U wszystkich pacjentów (kohorty A-E, N = 82) wystąpiło 17 zdarzeń niepożądanych. Wszystkie miały łagodny lub umiarkowany stopień nasilenia i wszystkie ustąpiły. W badaniu nie raportowano również wystąpienia zgonów i występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych. Zdarzenia

niepożądane związane z leczeniem ogółem wystąpiły u 3 uczestników i doprowadziły do rezygnacji z udziału w badaniu w przypadku 1 uczestnika.

W części drugiej badania BP42066 nie raportowano wystąpienia śmierci oraz poważnych zdarzeń niepożądanych. Wystąpiło 18 zdarzeń niepożądanych u 12 pacjentów: w grupie 1 raportowano 9 zdarzeń niepożądanych u 6 pacjentów, a w grupie 2 raportowano 9 zdarzeń niepożądanych u 6 pacjentów. Trzy zdarzenia niepożądane uznano za powiązane z leczeniem – u 1 uczestnika wystąpiło podwyższenie ciśnienia krwi po podaniu roztworu doustnego RYS (po posiłku) oraz nadciśnienie po podaniu tabletki RYS rozpuszczonej w wodzie (po posiłku), u 1 uczestnika wystąpił ból głowy po podaniu tabletki RYS rozpuszczonej w wodzie (na czczo). Trzy zdarzenia niepożądane doprowadziły do przerwania badania, żadne z nich nie zostało uznane za związane z leczeniem - 2 uczestników uzyskało pozytywny wynik testu na obecność SARS-CoV-2, u 1 podejrzewano COVID-19.

Wszystkie zdarzenia niepożądane miały łagodny lub umiarkowany stopień nasilenia i wszystkie ustąpiły (z wyjątkiem 1 uczestnika z podejrzeniem COVID-19, którego ocena zdarzenia niepożądanego jest nieznana).

Podsumowując, w badaniu RCT I fazy, badanie otwarte, typu crossover (BP42066), w populacji dorosłych osób zdrowych wykazano, że rysdyplam podawany w postaci tabletek powlekanych zapewnia ekspozycję na lek równoważną z proszkiem do sporządzania roztworu doustnego.

Wytyczne kliniczne

W żadnej z odnalezionych wytycznych nie przedstawiono bezpośrednich zaleceń dla rysdyplamu w postaci tabletek, co może wynikać z faktu, iż forma ta została zarejestrowana przez EMA stosunkowo niedawno tj. w czerwcu 2025 r. Lek ten (bez wskazywania drogi podania) został wymieniony jako jedna ze skutecznych metod terapii w rekomendacji Schroth 2025. We wszystkich odnalezionych rekomendacjach zwrócono uwagę, iż wczesne rozpoczęcie leczenia modyfikującego przebieg choroby – najlepiej na etapie przedobjawowym – wiąże się z lepszymi wynikami klinicznymi w porównaniu z późniejszym wdrożeniem terapii. W przypadku nowo rozpoznanych chorych, w tym zidentyfikowanych w ramach badań przesiewowych noworodków, kluczowe jest niezwłoczne rozpoczęcie leczenia. Okres pomiędzy rozpoznaniem a wdrożeniem terapii modyfikującej przebieg choroby powinien być możliwie najkrótszy.

Problem ekonomiczny

Jako komparator uwzględniono w analizach farmakoekonomicznych, RYS pod postacią proszku do sporządzania roztworu doustnego. Zgodnie z danymi NFZ liczba pacjentów stosujących rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)” w 2023 roku wyniosła

305 pacjentów oraz w 2024 roku 371 pacjentów. Należy jednocześnie zauważyć, że zgodnie z zapisami ChPL Evrysdi, rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego można stosować w szerszej populacji niż wnioskowana.

W ramach analizy ekonomicznej wykonano analizę minimalizacji kosztów. Porównywano koszty stosowania rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych oraz rysdyplamu w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego. Analizę przeprowadzono z perspektywy NFZ, w 2-letnim horyzoncie czasowym.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie RYS, w postaci tabletek powlekanych w miejsce RYS w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego, jest tańsze o 74 838,15 zł w wariancie bez RSS oraz o [REDACTED] w wariancie z RSS. Oszacowane oszczędności wynikają z mniejszej częstotliwości wizyt ambulatoryjnych w celu wydania leku w ramieniu interwencji w porównaniu z komparatorem.

Wartość ceny zbytu netto produktu leczniczego Evrysdi (rysdyplam), przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania wynosi [REDACTED] w wariancie bez RSS oraz [REDACTED] w wariancie z RSS [REDACTED]

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) dla 2-letniego horyzontu czasowego. Oszacowania wnioskodawcy wskazują, iż finansowanie ze środków publicznych rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych będzie wiązało się ze spadkiem wydatków płatnika publicznego zarówno w wariancie z uwzględnieniem RSS (oszacowane w wariancie podstawowym oszczędności wyniosły w 1. roku [REDACTED], a w 2. roku [REDACTED] jak i w wariancie bez uwzględnienia RSS (oszacowane w wariancie podstawowym oszczędności wyniosły w 1. roku 10 304 620,03 zł, a w 2. roku 15 594 570,73 zł).

Biorąc pod uwagę dane NFZ dotyczące liczby pacjentów leczonych w ramach obowiązującego programu lekowego B.102.FM. oraz zapisy ChPL Evrysdi, należy uznać, że w analizie podstawowej wnioskodawcy wielkość populacji docelowej oszacowano w sposób prawidłowy [REDACTED]

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych zgodnych z przedmiotem oceny. Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Evrysdi w postaci tabletek powlekanych nie jest finansowany w żadnym z wymienionych krajów UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji:

- *Lek podawany w postaci tabletek powlekanych zapewnia ekspozycję na lek równoważną z przyjętym komparatorem;*
- *Dogodna postać dawkowania;*
- *Brak specyficznych warunków przechowywania leku;*
- *Obniżone koszty terapii.*

Uwaga Rady

Ekspert proponuje: włączenie skali RULM do oceny przy rozpoczynaniu terapii lub przełączaniu z terapii dotychczas stosowanym lekiem.

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: DPL.423.1.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Evrysdi (rysdyplam) w ramach programu lekowego B.102.FM. »Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni (ICD-10: G12.0, G12.1)«”; data ukończenia: 03.10.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione 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 (Roche Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche 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), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

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

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 185/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie kwalifikacji technologii lekowych na listę,
o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji,
przygotowywanej przez Ministra Zdrowia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie technologii lekowych z wykazu dotyczącego leków we wskazaniach z zakresu ginekologii, endokrynologii, diabetologii oraz reumatologii, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa z dnia 6 października 2025 r. na listę, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia.

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
1.	Adalimumabum	roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu	Leczenie czynnego ropnego zapalenia apokrynowych gruczołów potowych (trądzik odwrócony, acne inversa) o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego u młodzieży w wieku od 12 lat z niewystarczającą odpowiedzią na konwencjonalne leczenie układowe HS.	Lek dostępny w ramach Programu Lekowego
2.	Alogliptinum	tabletki powlekane	Leczenie dorosłych pacjentów, w wieku powyżej 18 lat, z cukrzycą typu 2. w celu poprawy kontroli glikemii w skojarzeniu z innymi produktami leczniczymi obniżającymi stężenie glukozy, w tym z insuliną, jeśli produkty te w monoterapii wraz z dietą i wysiłkiem fizycznym nie zapewniają dostatecznej kontroli glikemii.	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
3.	Gliquidonum	tabletki	Leczenie cukrzycy typu 2 u pacjentów w średnim wieku i starszych, kiedy przestrzeganie diety nie jest wystarczające do uregulowania metabolizmu węglowodanów.	Lek dostępny w aptece na receptę
4.	Linagliptinum	tabletki powlekane	Leczenie dorosłych z cukrzycą typu 2 jako uzupełnienie diety i aktywności fizycznej w celu poprawy kontroli glikemii w monoterapii.	Lek dostępny w aptece na receptę
5.	Pioglitazonum	tabletki	Leczenie dorosłych pacjentów w monoterapii: - zwłaszcza u pacjentów z nadwagą, u których nie można wystarczająco kontrolować glikemii za pomocą diety i aktywności fizycznej, i u których nie można stosować metforminy, ze względu na przeciwwskazania lub nietolerancję. w dwulekowej terapii doustnej w skojarzeniu z: - metforminą, zwłaszcza u pacjentów z nadwagą, u których glikemia nie jest wystarczająco kontrolowana, pomimo stosowania w monoterapii maksymalnych tolerowanych dawek metforminy, - po pochodną sulfonylomocznika, tylko u pacjentów z nietolerancją metforminy lub u których metformina jest przeciwwskazana; u pacjentów, u których glikemia nie jest wystarczająco kontrolowana, pomimo stosowania w monoterapii maksymalnych tolerowanych dawek sulfonylomocznika. w trzylekowej terapii doustnej w skojarzeniu z: - metforminą i pochodną sulfonylomocznika, zwłaszcza u pacjentów z nadwagą, u których glikemia nie jest wystarczająco kontrolowana, pomimo stosowania dwulekowej terapii doustnej. Lek jest również wskazany w leczeniu skojarzonym z insuliną w cukrzycy typu 2. u dorosłych pacjentów z niedostateczną kontrolą glikemii za pomocą insuliny, którzy nie mogą stosować metforminy w związku z przeciwwskazaniami lub nietolerancją.	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
6.	Saxagliptinum	tabletki powlekane	Leczenie dorosłych pacjentów z cukrzycą typu 2 jako uzupełnienie diety i wysiłku fizycznego w celu poprawy kontroli glikemii: • w monoterapii, gdy stosowanie metforminy jest niewłaściwe ze względu na nietolerancję lub przeciwwskazania. • w terapii skojarzonej z innymi produktami leczniczymi stosowanymi w leczeniu cukrzycy, w tym z insuliną, gdy nie zapewniają one odpowiedniej kontroli glikemii.	Lek dostępny w aptece na receptę
7.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Niedoczynność przytarczyc.	Lek dostępny w aptece na receptę
8.	Hydrocortisonum	postacie doustne o zmodyfikowanym uwalnianiu	Pierwotna niedoczynność kory nadnerczy.	Lek dostępny w aptece na receptę
9.	Hydrocortisonum	postacie doustne o zmodyfikowanym uwalnianiu	Wtórna niedoczynność kory nadnerczy.	Lek dostępny w aptece na receptę
10.	Thiamazolum	tabletki powlekane	Nadczynność tarczycy.	Lek dostępny w aptece na receptę
11.	Thiamazolum	tabletki powlekane	Przygotowanie do zabiegu wycięcia tarczycy.	Lek dostępny w aptece na receptę
12.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Osteodystrofia nerkowa.	Lek dostępny w aptece na receptę
13.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Zaburzenia gospodarki wapniowej u pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek.	Lek dostępny w aptece na receptę
14.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Hipokalcemia, zwłaszcza u pacjentów ze schorzeniami prowadzącymi do upośledzenia hydroksylacji witaminy D w nerkach.	Lek dostępny w aptece na receptę
15.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Zespoły nerczycowe u dzieci po długotrwałym leczeniu glikokortykosteroidami.	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
16.	Choriogonadotropinum alfa	roztwór do wstrzykiwań	Kontrolowana hiperstymulacja jajników u pacjentek w wieku poniżej 40 roku życia w celu uzyskania rozwoju mnogich pęcherzyków, rokujących uzyskanie prawidłowej odpowiedzi na stymulację jajczkowania (hormon folikulotropowy - FSH poniżej 15 mIU/ml w 2-3 dniu cyklu lub hormon antymüllerowski - AMH powyżej 0,7 ng/ml (wg II standardu)), u których nie stwierdza się wcześniejszych, niedostatecznych odpowiedzi na stymulację owulacji oraz bez nawracających poronień z tym samym partnerem - refundacja do 3 cykli	Lek dostępny w aptece na receptę
17.	Choriogonadotropinum alfa	roztwór do wstrzykiwań	Brak owulacji u pacjentek w wieku poniżej 40 roku życia, u których nie uzyskano odpowiedzi po zastosowaniu cytrynianu klomifenu, rokujących uzyskanie prawidłowej odpowiedzi na stymulację jajczkowania (hormon folikulotropowy - FSH poniżej 15 mIU/ml w 2-3 dniu cyklu lub hormon antymüllerowski - AMH powyżej 0,7 ng/ml (wg II standardu)) – refundacja do 3 cykli.	Lek dostępny w aptece na receptę
18.	Choriogonadotropinum alfa	roztwór do wstrzykiwań	Pacjenci zakwalifikowani do programu polityki zdrowotnej: leczenie niepłodności obejmujące procedury medycznie wspomaganej prokreacji, w tym zapłodnienie pozaustrojowe prowadzone w ośrodku medycznie wspomaganej prokreacji, na lata 2024-2028.	Lek dostępny w aptece na receptę
19.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie bolesnego miesiączkowania	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
20.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie endometriozy.	Lek dostępny w aptece na receptę
21.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie wtórnego braku miesiączki.	Lek dostępny w aptece na receptę
22.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie nieregularnych cykli miesięczkowych.	Lek dostępny w aptece na receptę
23.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie nieprawidłowych krwawień z macicy.	Lek dostępny w aptece na receptę
24.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie poronień nawykowych.	Lek dostępny w aptece na receptę
25.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Niedobory progesteronu: leczenie bezpłodności związanej z niewydolnością ciała żółtego.	Lek dostępny w aptece na receptę
26.	Dydrogesteronum	tabletki powlekane	Hormonalna terapia zastępcza	Lek dostępny w aptece na receptę
27.	Estriolum	żel dopochwowy	Hormonalna Terapia Zastępcza (HTZ) (HRT – Hormone Replacement Therapy) w wyniku niedoboru estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę
28.	Estriolum	globulki dopochwowe	Hormonalna Terapia Zastępcza (HTZ) (HRT – Hormone Replacement Therapy) w wyniku niedoboru estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę
29.	Estriolum	krem dopochwowy	Hormonalna Terapia Zastępcza (HTZ) (HRT – Hormone Replacement Therapy) w wyniku niedoboru estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
30.	Estriolum	żel dopochwowy	Leczenie objawów podmiotowych zmian zanikowych pochwy spowodowanych niedoborem estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę
31.	Estriolum	globulki dopochwowe	Leczenie objawów podmiotowych zmian zanikowych pochwy spowodowanych niedoborem estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę
32.	Estriolum	krem dopochwowy	Leczenie objawów podmiotowych zmian zanikowych pochwy spowodowanych niedoborem estrogenów u kobiet po menopauzie	Lek dostępny w aptece na receptę
33.	Follitropin alfa + Lutropin alfa	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	Stymulacja wzrostu pęcherzyków jajnikowych u pacjentek w wieku poniżej 40 roku życia ze znacznym niedoborem LH i FSH – refundacja do 3 cykli	Lek dostępny w aptece na receptę
34.	Follitropin alfa + Lutropin alfa	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	Pacjenci zakwalifikowani do programu polityki zdrowotnej: leczenie niepłodności obejmujące procedury medyczne wspomaganej prokreacji, w tym zapłodnienie pozaustrojowe prowadzone w ośrodku medycznie wspomaganej prokreacji, na lata 2024-2028	Lek dostępny w aptece na receptę
35.	Goserelinum	implant w ampulkostrzykawce (dotyczy tylko dawki 3,6 mg)	Leczenie endometriozy, łagodzenie objawów choroby, w tym bólu, oraz zmniejszenie rozmiarów i liczbę zmian endometrialnych	Lek dostępny w aptece na receptę
36.	Lutropin alfa	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	Stymulacja wzrostu pęcherzyków jajnikowych u pacjentek w wieku poniżej 40 roku życia ze znacznym niedoborem LH i FSH – refundacja do 3 cykli	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
37.	Lutropin alfa	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	Pacjenci zakwalifikowani do programu polityki zdrowotnej: leczenie niepłodności obejmujące procedury medycznie wspomaganej prokreacji, w tym zapłodnienie pozaustrojowe prowadzone w ośrodku medycznie wspomaganej prokreacji, na lata 2024-2028	Lek dostępny w aptece na receptę
38.	Lynestrenolum	tabletki	Endometrioza	Lek dostępny w aptece na receptę
39.	Triptorelinum	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie potwierdzonej badaniem laparoskopowym endometriozy w przypadku, gdy nie ma wskazań do leczenia chirurgicznego	Lek dostępny w aptece na receptę
40.	Triptorelinum	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny o przedłużonym uwalnianiu do wstrzykiwań (dotyczy tylko dawek: 0,1 mg/ml, 3,75 mg).	Leczenie potwierdzonej badaniem laparoskopowym endometriozy w przypadku, gdy nie ma wskazań do leczenia chirurgicznego	Lek dostępny w aptece na receptę
41.	Triptorelinum	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie uzupełniające w połączeniu z podawaniem gonadotropin (hMG, FSH, hCG) w celu wywołania jajczkowania, w przygotowaniu do zapłodnienia zewnątrzustrojowego i przeniesienia zarodka do macicy	Lek dostępny w aptece na receptę
42.	Triptorelinum	proszek i rozpuszczalnik do sporządzania zawiesiny o przedłużonym uwalnianiu do wstrzykiwań (dotyczy tylko dawek: 0,1 mg/ml, 3,75 mg).	Leczenie uzupełniające w połączeniu z podawaniem gonadotropin (hMG, FSH, hCG) w celu wywołania jajczkowania, w przygotowaniu do zapłodnienia zewnątrzustrojowego i przeniesienia zarodka do macicy	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
43.	Acidum zoledronicum	roztwór do infuzji (dotyczy dawki 0,05 mg/ml– 5 mg /100ml)	Leczenie osteoporozy u kobiet po menopauzie oraz u mężczyzn u których występuje zwiększone ryzyko złamań kości, w tym pacjentów, którzy przebyli ostatnio niskoenergetyczne złamanie szyjki kości udowej	Lek dostępny w aptece na receptę
44.	Acidum zoledronicum	roztwór do infuzji (dotyczy dawki 0,05 mg/ml– 5 mg /100ml)	Leczenie osteoporozy związanej z długotrwałą terapią glikokortykosteroidami stosowanymi ogólnoustrojowo u kobiet po menopauzie oraz u mężczyzn u których występuje zwiększone ryzyko złamań	Lek dostępny w aptece na receptę
45.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Osteoporoza postmenopauzalna i starcza z jednoczesnym niedoborem witaminy D lub jej czynnych metabolitów	Lek dostępny w aptece na receptę
46.	Alfacalcidolum	kapsułki miękkie	Krzywica i osteomalacja oporne na witaminę D	Lek dostępny w aptece na receptę
47.	Teriparatidum	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie osteoporozy u kobiet w okresie pomenopauzalnym i u mężczyzn o podwyższonym ryzyku złamań	Lek dostępny w aptece na receptę
48.	Teriparatidum	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie osteoporozy związanej z długotrwałym stosowaniem glikokortykosteroidów o działaniu ogólnoustrojowym u kobiet i mężczyzn o podwyższonym ryzyku złamań	Lek dostępny w aptece na receptę
49.	Mesterololum	tabletki	Zaburzenia potencji	Lek dostępny w aptece na receptę
50.	Mirabegron	tabletki o przedłużonym uwalnianiu	II linia farmakologicznego leczenia naglącego parcia na mocz, częstomoczu lub nietrzymania moczu spowodowanego nagłącymi parciami, które mogą wystąpić u dorosłych pacjentów z zespołem pęcherza nadreaktywnego, uprzednio leczonych lekami antymuskarynowymi	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
51.	Mesterololum	tabletki	Hipogonadyzm	Lek dostępny w aptece na receptę
52.	Testosteroni propionas + Testosteroni phenylpropionas + Testosteroni isocaproas + Testosteroni decanoas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie w hipogonadyzmie męskim - testosteronowa terapia zastępcza, gdy niedobór testosteronu jest potwierdzony przez objawy kliniczne i badania biochemiczne	Lek dostępny w aptece na receptę
53.	Testosteroni propionas + Testosteroni phenylpropionas + Testosteroni isocaproas + Testosteroni decanoas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie opóźnionego dojrzewania u mężczyzn	Lek dostępny w aptece na receptę
54.	Testosteroni propionas + Testosteroni phenylpropionas + Testosteroni isocaproas + Testosteroni decanoas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie zespołów pokastracyjnych u mężczyzn	Lek dostępny w aptece na receptę
55.	Testosteroni propionas + Testosteroni phenylpropionas + Testosteroni isocaproas + Testosteroni decanoas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie impotencji spowodowanej niedoborem testosteronu u mężczyzn	Lek dostępny w aptece na receptę
56.	Testosteronum	żel przezskórny	Leczenie testosteronową terapią zastępczą w hipogonadyzmie męskim u dorosłych pacjentów, gdy niedobór testosteronu jest potwierdzony przez objawy kliniczne i badania biochemiczne	Lek dostępny w aptece na receptę
57.	Testosteroni enantas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie testosteronową terapią zastępczą w hipogonadyzmie męskim u dorosłych pacjentów, gdy niedobór testosteronu jest potwierdzony przez objawy kliniczne i badania biochemiczne	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
58.	Testosteroni undecanoas	roztwór do wstrzykiwań	Leczenie testosteronową terapią zastępczą w hipogonadyzmie męskim u dorosłych pacjentów, gdy niedobór testosteronu jest potwierdzony przez objawy kliniczne i badania biochemiczne	Lek dostępny w aptece na receptę
59.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dorosłych pacjentów: reumatoidalne zapalenie stawów	Lek dostępny w aptece na receptę
60.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dorosłych pacjentów: toczeń rumieniowaty układowy	Lek dostępny w aptece na receptę
61.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dorosłych pacjentów: toczeń rumieniowaty krążkowy	Lek dostępny w aptece na receptę
62.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dzieci i młodzieży (≥ 6 lat i masie ≥ 31 kg.): młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów (w skojarzeniu z innymi terapiami)	Lek dostępny w aptece na receptę

Lp.	Substancja czynna	Postać farmaceutyczna	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
63.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dzieci i młodzieży (≥ 6 lat i masie ≥ 31 kg.): toczni rumieniowaty układowy	Lek dostępny w aptece na receptę
64.	Hydroxychloroquini sulfas	tabletki powlekane	Leczenie u dzieci i młodzieży (≥ 6 lat i masie ≥ 31 kg.): toczni rumieniowaty krążkowy	Lek dostępny w aptece na receptę

Uzasadnienie

Wymienione produkty lecznicze (różne postacie recepturowe zawierające 29 substancji czynnych) są stosowane dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i są rekomendowane w wytycznych postępowania klinicznego. Wskazania kliniczne są zawarte w ChPL. Wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie wymienionych produktów leczniczych refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła dla tych leków wyłączność rynkowa. Rada Przejrzystości uwzględniła potrzebę zdrowotną stosowania wymienionych produktów leczniczych kierując się danymi dotyczącymi dostępności innych substancji czynnych refundowanych w danym wskazaniu o tożsamym celu terapeutycznym i/lub na podstawie wskazania przez eksperta klinicznego. Rada wzięła pod uwagę, że przy kwalifikacji technologii do ww. wykazu kierowano się oceną oczekiwanych efektów zdrowotnych, m.in.:

- priorytetami zdrowotnymi,
- niezaspokojoną potrzebą zdrowotną
- siłą interwencji,
- jakością danych naukowych,
- wielkością populacji docelowej,
- wpływem na budżet płatnika.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 30a ust. 5 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w związku z art. 31n ust. 5 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w związku ze zleceniem przygotowania opinii w zakresie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu z dnia 6 października 2025 r. dotyczącego leków we wskazaniach z zakresu ginekologii, endokrynologii, diabetologii oraz reumatologii wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa, na liście leków, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia, z uwzględnieniem opracowania nr: DCh.422.2.1.2025 „Wykaz leków z zakresu ginekologii, endokrynologii, diabetologii oraz reumatologii”, na podstawie art. 30a ustawy o refundacji, materiały analityczne; data ukończenia 6 października 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 186/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań
przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz
warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki
obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi

Rada Przejrzystości uważa za zasadne realizowanie programów polityki zdrowotnej profilaktyki obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi zgodnie z dotychczasowymi rekomendacjami Prezesa AOTMiT, przy czym populację należy rozszerzyć do wszystkich pacjentów leczonych/po leczeniu raka piersi zamiast dotychczasowej populacji po mastektomii.

Uzasadnienie

Niniejsza opinia Rady została wydana w związku z ustawowym obowiązkiem aktualizacji rekomendacji stosownie do art. 48aa ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Problem zdrowotny

Rak piersi (C50 według ICD-10) pozostaje najczęstszym nowotworem złośliwym u kobiet w Polsce i główną przyczyną zgonów onkologicznych w tej populacji. Według danych Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) w latach 2018–2022 zarejestrowano łącznie 100 969 nowych przypadków raka piersi, z czego 766 u mężczyzn. W 2022 r. surowy współczynnik zachorowań u kobiet wyniósł 110,27 na 100 tys., co stanowi wzrost o ponad 8 punktów w stosunku do średniej z ostatnich pięciu lat (101,61 / 100 tys.). W tym samym okresie liczba nowych zachorowań wzrosła z 17 620 (2013 r.) do 21 723 (2022 r.), co odpowiada wzrostowi o 23,3 % w ciągu dziesięciu lat.

W związku z rosnącą liczbą chorych, coraz większego znaczenia nabiera profilaktyka i rehabilitacja powikłań po leczeniu raka piersi. Jednym z najczęstszych i najbardziej obciążających powikłań jest obrzęk limfatyczny kończyny górnej po leczeniu raka piersi (BCRL – Breast Cancer–Related Lymphedema).

Częstość występowania BCRL szacuje się średnio na 20–25% w populacji kobiet leczonych z powodu raka piersi, przy czym ryzyko wzrasta do ponad 40% w przypadku limfadenektomii pachowej lub radioterapii węzłów chłonnych.

Obrzęk może wystąpić zarówno bezpośrednio po zakończeniu leczenia, jak i w okresie kilku lat od jego zakończenia. Czynniki ryzyka obejmują m.in.: wyższe BMI, przyrost masy ciała po leczeniu, nadciśnienie tętnicze, wyższe stadium kliniczne choroby, rozległość zabiegu chirurgicznego, radioterapię pachy lub ściany klatki piersiowej oraz infekcje skóry kończyny operowanej.

Obrzęk limfatyczny prowadzi do upośledzenia funkcji kończyny górnej, ograniczenia ruchomości w stawie ramiennym, bólu, uczucia ciężkości i zwiększonej podatności na infekcje (szczególnie róży). Długotrwały obrzęk sprzyja włóknieniu tkanek, deformacjom i pogorszeniu jakości życia (Quality of Life, QoL). Z perspektywy społeczno-ekonomicznej BCRL skutkuje również obniżeniem aktywności zawodowej, zwiększeniem absencji chorobowej oraz wzrostem kosztów leczenia i rehabilitacji.

Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania, warunki realizacji

Zgodnie z danymi zaprezentowanymi BASiW liczba porad udzielonych kobietom w jednostkach podstawowej opieki zdrowotnej (POZ) w 2023 r. z kodami ICD-10 związanymi z zaburzeniami układu krążenia, w tym limfatycznego (takie jak I88-89, I97-99) wyniosła 27 663 porad, a z kodami R22 (Umiejscowiony obrzęk, guzek, guz skóry i tkanki podskórnej) i R60 (Obrzęk, gdzie indziej niesklasyfikowany) 146 870 (BASiW 2025).

W ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej osoby z obrzękiem limfatycznym w Polsce mogą otrzymać świadczenia z zakresu rehabilitacji ogólnoustrojowej realizowane w warunkach ośrodka lub oddziału dziennego. Ponadto osoby z nowotworem piersi objęte kompleksową opieką onkologiczną mają zagwarantowany dostęp do świadczeń z zakresu rehabilitacji obejmujący m.in. poradę lekarską, wizytę fizjoterapeutyczną, zabiegi fizjoterapeutyczne, redukcję obrzęku limfatycznego, psychoterapię czy możliwość refundacji wyrobów medycznych przez NFZ.

2024 r. łącznie zrealizowano 13 173 zlecenia na wyroby medyczne z kategorii N mające zastosowanie w obrzęku limfatycznym kończyny górnej po leczeniu raka piersi. Najwięcej zrealizowanych zleceń było z kodem N.16.01 „Gorset (biustonosz) kompresyjny” (4 442) u 4 394 pacjentów na łączną kwotę prawie 1,2 mln zł (CeZ 2025).

Procedury medyczne finansowane w ramach leczenia szpitalnego obrzęku limfatycznego obejmują m.in.: „Korekcja obrzęku limfatycznego kończyny – inna” (ICD-9: 40.98); „Obrzęk chłonny niesklasyfikowany gdzie indziej” (I89.0); „Zespół obrzęku chłonnego po usunięciu sutka” (I97.2); „Obrzęk zlokalizowany” (R60.0).

Dowody naukowe

Do raportu analitycznego włączono łącznie 14 publikacji naukowych odnoszących się do skuteczności działań profilaktycznych ukierunkowanych

na obrzęk limfatyczny po leczeniu raka piersi. W ramach zebranych dowodów znalazło się: 8 publikacji dotyczących skuteczność interwencji przeciwobrzękowych; 2 publikacje określające wpływ działań informacyjno-edukacyjnych; 3 publikacje odnoszące się do wpływu aktywności fizycznej na obrzęk limfatyczny oraz 1 publikacja opisująca czynniki ryzyka rozwoju obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi.

Interwencje przeciwobrzękowe:

- Ogólne dowody na skuteczność kompleksowej terapii przeciwobrzękowej potwierdzają jej wpływ na redukcję objętości obrzęku u osób z obrzękiem limfatycznym po leczeniu raka piersi. Kompleksowa terapia przeciwobrzękowa i ćwiczenia fizyczne jako osobne komponenty mają ograniczone dowody dotyczące skuteczności redukcji objętości, ale wykazują korzyści w innych obszarach i potencjalnie wspierają ich zastosowanie w prewencji/obniżaniu ryzyka wystąpienia obrzęku limfatycznego związanego z rakiem piersi (Gilchrist 2024).
- Ręczny drenaż limfatyczny i ćwiczenia aerobowe nie wpływają istotnie statystycznie na objętość obrzęku limfatycznego (Lin 2023).
- Ćwiczenia barków i łokci istotnie statystycznie zmniejszają ryzyko wystąpienia obrzęku limfatycznego po operacji raka piersi – $RR=0,343$ [95%CI: (0,207; 0,569)] (Lin 2023).
- Osoby biorące udział w programach wczesnego monitorowania i leczenia obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi miały istotnie statystycznie niższe ryzyko wystąpienia przewlekłego obrzęku limfatycznego o 69% – $RR=0,31$ [95%CI: (0,10; 0,95)] (Rafn 2022).

Działania edukacyjne:

- Dowody sugerują, że edukacja dotycząca obrzęku limfatycznego związanego z rakiem piersi powinna być prowadzona w wielu punktach czasowych na całej ścieżce leczenia, z różnym zakresem treści, a także w ramach podejścia multimodalnego (Perdomo 2023).
- Interwencje m-health istotnie statystycznie obniżają ryzyko wystąpienia obrzęku limfatycznego w grupie interwencyjnej w porównaniu do kontroli o 80% – $RR=0,20$ [95%CI: (0,15; 0,26)] (Luo 2022).

Ćwiczenia fizyczne:

- Wykonywanie ćwiczeń fizycznych nie wpływa istotnie statystycznie na zmianę objętości ramienia u osób z obrzękiem limfatycznym po leczeniu raka piersi w porównaniu do grupy kontrolnej (García-Chico 2025).
- Ćwiczenia fizyczne nie wykazują istotnego statystycznie wpływu na średni obwód ramienia w grupie interwencyjnej w porównaniu do kontrolnej u osób

po leczeniu raka piersi z wysokim ryzykiem wystąpienia obrzęku limfatycznego lub z już istniejącym obrzękiem (García-Chico 2025).

- Trening oporowy u osób po leczeniu raka piersi (z lub bez obrzęku limfatycznego) istotnie statystycznie zmniejsza parametry obrzęku – SMD=-0,29 [95%CI: (-0,44; -0,15)], w porównaniu do grupy kontrolnej.

Czynniki ryzyka:

Następujące czynniki istotnie statystycznie zwiększają szansę wystąpienia BCRL wśród pacjentek z jednostronnym rakiem piersi:

- podwyższone BMI:
- na każdy wzrost o 1 kg/m² – OR=1,063 [95%CI: (1,038; 1,087)];
- ≥25 kg/m² w porównaniu do <25 kg/m² – OR=2,092 [95%CI: (1,450; 3,018)];
- ≥30 kg/m² w porównaniu do <30 kg/m² – OR=1,935 [95%CI: (1,623; 2,307)];
- 25-29,9 kg/m² w porównaniu do <25 kg/m² – OR=1,302 [95%CI: (1,138; 1,490)];
- pooperacyjny wzrost wagi o każdy 1 kg – OR=1,073 [95%CI: (1,045; 1,102)];
- nadciśnienie – OR=2,194 [95%CI: (1,373; 3,506)];
- wyższe stadia nowotworu:
- stadium III w porównaniu do I-II – OR=1,868 [95%CI: (1,337; 2,610)];
- stadium II-III w porównaniu do I – OR=1,683 [95%CI: (1,188; 2,386)];
- większy rozmiar guza na każdy wzrost o 1 cm – OR=3,171 [95%CI: (1,699; 5,916)];
- chemioterapia – OR=1,355 [95%CI: (1,145; 1,603)];
- radioterapia – OR=1,987 [95%CI: (1,653; 2,389)] (Shen 2022).

W ramach wyszukiwania odnaleziono 3 nowe wytyczne oraz 4 aktualizacje rekomendacji towarzystw naukowych odnoszących się do kwestii profilaktyki obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi.

Zgodnie z zapisami odnalezionych rekomendacji, działaniami profilaktycznymi obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi powinny być objęte:

- kobiety z diagnozą nowotworu przed rozpoczęciem leczenia (NICE 2025, ACS/LANA 2024, ISL 2023, HSE/LNNI/BLS 2022, APTA 2020);
- wszystkie kobiety po leczeniu raka piersi niezależnie od wystąpienia obrzęku limfatycznego (NICE 2025, WIM PIB/PTP 2025, ACS/LANA 2024, HSE/LNNI/BLS 2022, APTA 2020, PTOK 2020);
- pacjentki z obrzękiem limfatycznym po leczeniu raka piersi (NICE 2025, ACS/LANA 2024, ISL 2023, HSE/LNNI/BLS 2022, APTA 2020, PTOK 2020).

Opcjonalne technologie medyczne

Do alternatywnych metod realizacji działań profilaktycznych nacelowanych na profilaktykę obrzęku limfatycznego, w ramach aktualnie obowiązujących wytycznych klinicznych oraz dostępnych wtórnych dowodów naukowych, możliwe jest realizowanie następujących interwencji:

- kompleksowa terapia przeciwobrzękowa;*
- manualny drenaż limfatyczny;*
- automasaż;*
- terapia kompresyjna;*
- terapia laserowa małej mocy;*
- endermologia;*
- stosowanie odzieży kompresyjnej;*
- kinesioping;*
- ćwiczenia fizyczne i oddechowe;*
- działania informacyjno-edukacyjne;*
- działania ukierunkowane na modyfikację stylu życia.*

Zgodnie z zawartymi w rekomendacjach informacjami, kluczową formą profilaktyki obrzęku limfatycznego jest wczesne rozpoczęcie rehabilitacji pooperacyjnej w warunkach domowych, kontynuowanej w warunkach ambulatoryjnych, ocena stanu i funkcji obręczy barkowej w poradni rehabilitacji, unikanie nadmiernego wysiłku oraz odpowiednia pozycja ułożenia kończyny po stronie operowanej. Niezależnie od wystąpienia obrzęku rekomendacje zalecają kobietom po operacji raka piersi wykonywanie lekkiej aktywności fizycznej i stosowanie urozmaiconej diety.

Wskaźniki monitorowania i ewaluacji

System monitorowania i oceny programu polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki i leczenia obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi powinien umożliwiać bieżącą ocenę skuteczności działań, jakości realizacji świadczeń oraz wpływu programu na stan zdrowia pacjentek. Monitorowanie obejmuje zarówno parametry kliniczne, jak i organizacyjne oraz jakościowe.

Wskaźniki efektywności klinicznej

Odsetek pacjentek z rozpoznanym wczesnym (subklinicznym) obrzękiem limfatycznym w stosunku do ogółu pacjentek objętych programem – wskaźnik wczesnej detekcji skuteczności profilaktyki. Odsetek pacjentek z potwierdzonym klinicznym obrzękiem limfatycznym (BCRL) wśród wszystkich kobiet po leczeniu raka piersi objętych opieką. Średnia redukcja objętości obrzęku kończyny górnej po zastosowaniu kompleksowej terapii przeciwobrzękowej (CDT) – wyrażona w procentach lub mililitrach. Odsetek pacjentek z utrzymaniem efektu terapeutycznego po 6 i 12 miesiącach od zakończenia terapii – ocena trwałości

rezultatów leczenia. Zmiana jakości życia pacjentek (QoL) oceniana za pomocą walidowanych kwestionariuszy, np. LYMQOL lub FACT-B+4, między stanem początkowym a po zakończeniu programu. Odsetek pacjentek zgłaszających poprawę funkcji kończyny górnej (np. wg skali DASH lub Quick-DASH). Liczba infekcji skóry (róża, cellulitis) w ciągu roku w grupie pacjentek uczestniczących w programie – pośredni wskaźnik skuteczności profilaktyki i edukacji.

Wskaźniki efektywności organizacyjnej i jakości opieki

Liczba pacjentek objętych programem w danym roku – odniesiona do liczby kobiet po leczeniu raka piersi w populacji JST lub regionu. Odsetek pacjentek, u których wykonano pomiar bazowy kończyny przed rozpoczęciem leczenia onkologicznego. Odsetek pacjentek monitorowanych co najmniej dwa razy w roku (pomiar obwodów lub bioimpedancji). Średni czas od wystąpienia pierwszych objawów obrzęku do rozpoczęcia terapii CDT – wskaźnik dostępności świadczeń. Odsetek pacjentek przeszkolonych w zakresie autoterapii i samokontroli – na podstawie ankiet edukacyjnych lub kart pacjenta. Udział ośrodków realizujących program z pełnym zespołem terapeutycznym (lekarz, fizjoterapeuta, pielęgniarka, dietetyk, psycholog) w stosunku do liczby wszystkich realizatorów programu. Stopień realizacji zaplanowanej liczby świadczeń terapeutycznych i edukacyjnych – miernik wykonania programu (w %).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3a ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów nr: DPPZ.434.2.2025 „Profilaktyka obrzęku limfatycznego po leczeniu raka piersi”; data ukończenia: październik 2025.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 187/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu
lekowego B.129.FM „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię
typu 1 (ICD-10: E74.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w ramach programu lekowego B.129.FM „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)”.

Uzasadnienie

- 1. Wprowadzone zmiany mają charakter redakcyjny, porządkujący oraz standaryzujący. Ujednolicają kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu lekowego, zwiększając przejrzystość zapisów oraz elastyczność w ocenie stanu klinicznego pacjentów. Zmodyfikowane zapisy dot. ciąży i laktacji umożliwiają czasowe zawieszenie udziału w programie. Dodatkowo wprowadzono techniczny zapis, który umożliwia objęcie leczeniem pacjentów po przeszczepieniu nerki. Zmiany w zakresie badań diagnostycznych upraszczają proces kwalifikacji, zastępując dotychczasowe testy wymogiem przedstawienia wyniku badania genetycznego potwierdzającego rozpoznanie PH1. Pozostałe zmiany nie wpływają na sam proces leczenia w ramach programu lekowego.*
- 2. Zmodyfikowane zapisy są zgodne z ChPL.*
- 3. Brak wpływu na koszty płatnika.*
- 4. Pozytywne stanowisko ekspertów.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.42.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu

lekowego B.129.FM »Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)«”; data ukończenia:
09 października 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 142/2025 z dnia 13 października 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Vita
we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD,
deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt GLUT1.

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Vita we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt GLUT1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

K.Vita to zagęszczony płyn (saszetka 120 ml) o smaku truskawkowym zawierający specjalną mieszankę średniołańcuchowych trójglicerydów (MCT), przeznaczony do dietetycznego leczenia padaczki odpornej na leki u dorosłych i dzieci od 3. roku życia.

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Vita nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji i nie znajduje się w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej.

W Polsce nie jest dostępna alternatywna technologia medyczna, która może w pełni zastąpić śsspż K.Vita. Pacjenci mogą stosować śsspż zawierające średniołańcuchowe trójglicerydy (MCT), sprowadzane głównie w ramach importu docelowego, jednakże różnią się one składem od ocenianego śsspż K.Vita. W przypadku postępowania dietetycznego optymalny dobór preparatu zależy od wielu czynników: indywidualnych potrzeb pacjentów, ich stanu zdrowia, wieku lub masy ciała.

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego odnaleziono tylko 1 badanie spełniające kryteria włączenia: badanie Schoeler 2021 dotyczące stosowania produktu K.Vita u pacjentów ≥ 3 r.ż z padaczką lekooporną. Wśród pacjentów włączonych do ww. badania 4/61 pacjenci (6,6%) mieli także zdiagnozowany deficyt GLUT1.

W badaniu Schoeler 2021 38% dzieci i 50% dorosłych osiągnęło 50% zmniejszenie napadów lub zdarzeń padaczkowych. Niektóre zespoły padaczkowe wydawały się reagować szczególnie dobrze na zastosowaną terapię, w tym pacjent z deficytem GLUT1. Odnotowano istotne statystycznie zmniejszenie liczby napadów/zdarzeń od wizyty początkowej do wizyty po 5 tyg. terapii oraz do wizyty po 12 tyg. terapii. Do najczęściej raportowanych objawów żołądkowo-jelitowych należały: wzdęcia/uczucie pełności, nadmierne wzdęcia oraz zaparcia, natomiast objawami niezwiązanymi z układem pokarmowym były zmiany nastroju/zachowania oraz ból gardła. Ogółem 87% pacjentów stosowało zalecaną ilość K.Vita do 5 tyg. badania, a 74% do ostatniej wizyty (12 tyg.). 91% dzieci i 56% dorosłych, którzy ukończyli badanie zdecydowało się kontynuować spożywanie K.Vita po zakończeniu badania. Osoby deklaruujące brak kontynuacji stosowania preparatu K.Vita uzasadniały decyzję brakiem skuteczności klinicznej (w opinii pacjenta/opiekuna).

Odnaleziono 7 dokumentów zawierających wytyczne kliniczne. Żaden z dokumentów nie odnosi się bezpośrednio do śsspż K.Vita (Betashot). Odnalezione wytyczne zalecają dietę ketogeniczną, w tym opartą na trójglicerydach o średnim łańcuchu (MCT) we wszystkich ocenianych wskazaniach. Żaden z odnalezionych dokumentów nie odnosi się do zawartości kwasu kaprylowego, ani kapronowego w diecie. Zalecany jest indywidualny dobór postępowania dietetycznego do potrzeb chorego.

Problem ekonomiczny

Roczny koszt refundacji wyniósłby około kilkuset tysięcy złotych.

Główne argumenty decyzji:

- Słabej jakości dowody naukowe - brak badań randomizowanych, zaślepionych lub z grupą kontrolną.
- Brak badań dotyczących stosowania produktu K.Vita w części populacji wskazanej w Zleceniu MZ, tj. u pacjentów z deficytem LCHAD, deficytem VLCAD oraz deficytem dehydrogenazy pirogronianowej.
- Brak specyficznych zaleceń wytycznych praktyki klinicznej co do składu MCT preparatów.
- Obecność alternatywnych możliwości leczenia dietetycznego w tym na import docelowy.

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.4211.14.2025 „K.Vita we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt GLUT1”; data ukończenia: 7 października 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 188/2025 z dnia 13 października 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej badań
przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu i wzroku u dzieci
zamieszkujących województwo mazowieckie”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu i wzroku u dzieci zamieszkujących województwo mazowieckie”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej, zaplanowany do realizacji przez Województwo Mazowieckie: „Program polityki zdrowotnej badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu i wzroku u dzieci zamieszkujących województwo mazowieckie”.

Okres realizacji PPZ: lata 2026-2028.

Całkowity koszt PPZ został oszacowany na 2 800 000 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu Województwa Mazowieckiego.

Głównym założeniem (celem) projektu programu jest „uzyskanie co najmniej 15% wykrywalności wad słuchu i/lub wzroku u uczestników I grupy docelowej biorących udział w badaniach przesiewowych przewidzianych w programie w latach 2026-2028/okresie jego trwania”. W projekcie wskazano również 3 cele szczegółowe.

Program ma być skierowany do dwóch grup docelowych: dzieci rozpoczynających edukację szkolną w klasach I szkół podstawowych (grupa I) oraz do ich rodziców/opiekunów prawnych (grupa II).

Oszacowano, że w latach 2026–2028 w województwie mazowieckim do klas I szkół podstawowych uczęszczać będzie około 190 tys. uczniów.

Zgodnie z założeniami budżet PPZ pozwoli na przebadanie około 1 721 uczniów oraz edukację około 2 007 rodziców/opiekunów prawnych. Wnioskodawca przewiduje jednocześnie, w przypadku dużego zainteresowania programem i większej liczby chętnych niż zakładano, możliwość podjęcia decyzji o zwiększeniu środków przeznaczonych na realizację programu, uwzględniając posiadane możliwości finansowe.

W PPZ zaplanowano przeprowadzenie:

- *kwalifikacji uczestników: weryfikacji, czy osoby aplikujące do programu spełniają wymagania formalne określone w kryteriach włączenia i wyłączenia;*
- *oceny stanu zdrowia uczestnika w zakresie identyfikacji przeciwwskazań do wykonania badań przesiewowych, rozpoznania wcześniej zdiagnozowanych wad wzroku lub słuchu oraz zebrania dodatkowych informacji istotnych dla dalszego przebiegu interwencji;*
- *badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu - badanie otoskopowe uszu, otoemisja akustyczna, badanie słuchu metodą audiometrii tonalnej dla obu uszu w zakresie częstotliwości od 500 do 8000 Hz przy 20 dB (podkreślono, że w szczególnych przypadkach rozszerzone o częstotliwości półoktawowe 3000 i 6000 Hz), a także test oceniający centralne procesy słuchowe z wykorzystaniem dźwięków mowy (badanie dźwiękami LINGA) dostosowanych do wieku i percepcji uczestnika;*
- *badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad wzroku - wykonanie badania ostrości wzroku przy użyciu optotypów (tablic obrazkowych, tablic Snellena, tablic Sloana lub tablic LEA Symbols), badania widzenia obuocznego (test czterech świateł Wortha lub test Muchy), oceny ustawienia i ruchomości gałek ocznych (test Hirschberga), testu naprzemiennego zasłaniania oczu (cover test) oraz testu zakrywania i odkrywania oczu (cover-uncover test). Zaznaczono również, że badanie obejmie refrakcję obiektywną metodą skiaskopii lub autorefraktometru, ocenę przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej oraz badanie dna oka metodą wziernikowania, a także badanie widzenia barwnego przy użyciu tablic Ishihary;*
- *konsultacji lekarskiej, stanowiącej etap podsumowujący proces diagnostyczny. Jak wskazano, jej celem będzie omówienie wyników badań oraz przekazanie zaleceń dotyczących dalszej diagnostyki lub leczenia w poradniach specjalistycznych okulistycznej lub laryngologicznej w ramach finansowania przez Narodowy Fundusz Zdrowia;*
- *działań edukacyjnych dla dzieci - zajęcia potrwać co najmniej 45 minut i obejmą zagadnienia związane z profilaktyką audiologiczną i zaburzeń widzenia, a także z higieną i kształtowaniem prawidłowych nawyków związanych ze zdrowiem narządu wzroku i słuchu. Przed rozpoczęciem zajęć dzieci wypełnią pre-test, a po ich zakończeniu post-test;*
- *działań edukacyjnych dla rodziców/opiekunów prawnych dzieci - w formie spotkań grupowych, w których uczestniczyć może maksymalnie 35 osób. W opisie programu wnioskodawca podkreślił, że zajęcia obejmą tematykę dotyczącą roli zmysłu wzroku i słuchu w procesach poznawczych, najczęściej występujących wad narządów zmysłów u dzieci, sposobów ich zapobiegania*

i kompensacji, metod leczenia oraz znaczenia profilaktyki. Przed rozpoczęciem edukacji uczestnicy wypełnią pre-test sprawdzający poziom wiedzy w zakresie funkcjonowania zmysłów wzroku i słuchu, natomiast po jej zakończeniu post-test, mający na celu ocenę przyrostu wiedzy.

Nadto w treści programu wskazano, że jednym z elementów realizacji PPZ jest kontakt z rodzicem lub opiekunem prawnym uczestnika I grupy docelowej, który powinien zostać przeprowadzony w ciągu miesiąca od daty konsultacji lekarskiej, a celem tego działania jest weryfikacja realizacji zaleceń przekazanych podczas konsultacji, w szczególności dotyczących dalszej diagnostyki lub leczenia w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia.

Projekt zakłada realizację akcji informacyjnej w zakresie realizacji programu.

W treści PPZ opisano sposób zakończenia udziału w programie. Wskazano, że uczestnik zakończy udział w programie, gdy spełnione zostanie którekolwiek z następujących kryteriów: wystąpi jedno z kryteriów wyłączenia albo zakończy się realizacja programu.

Rodzice mogą w każdym momencie zdecydować o zakończeniu udziału dziecka w programie.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że odnosi się on do problemów zdrowotnych, jakimi są wady wzroku i słuchu wśród dzieci w wieku szkolnym.

Wzrok:

Według Światowej Organizacji Zdrowia, około 150 milionów osób na świecie ma osłabione widzenie z powodu niewyrównanych wad wzroku. Problem ten dotyczy również w znacznym stopniu populacji 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. Niewyrównane wady refrakcji mogą powodować u dzieci i młodzieży opóźnienia rozwojowe, problemy społeczne, zaburzenia w orientacji przestrzennej, a także słabsze wyniki w nauce.

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 (dzieci w wieku 6-7 lat) częściowo znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach. Jeśli zaś chodzi o zaplanowane w tym

zakresie przez wnioskodawcę badania – znajdują one odzwierciedlenie w rekomendacjach.

Słuch:

Upośledzenie słuchu jest jednym z głównych czynników przyczyniających się do lat przeżytych z niepełnosprawnością. Przyjmuje się, że ponad 5 proc. światowej populacji (360 mln osób) żyje obecnie z niepełnosprawnością polegającą na przemijającym ubytku słuchu. Na podstawie kryterium etiologii (pochodzenia) wyróżnia się niedosłuch o podłożu dziedzicznym, wrodzonym oraz nabytym. Niedosłuch u małego dziecka, niewykryty dość wcześnie, przekładać się może negatywnie na jego postępy w nauce, posługiwanie się językiem, perspektywy edukacyjne, a także więzi społeczne. Zaplanowana przez wnioskodawcę populacja (dzieci w wieku 6-7 lat) znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach. Zaproponowane przez wnioskodawcę interwencje w tym zakresie znajdują odzwierciedlenie w rekomendacjach i opiniach ekspertów.

Prowadzenie działań edukacyjnych skierowanych do opiekunów prawnych dzieci znajduje odzwierciedlenie w rekomendacjach i opiniach ekspertów.

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

Badania przesiewowe w kierunku wad wzroku i słuchu znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej. Ponadto, świadczenia zdrowotne w zakresie badań wzroku i słuchu u dzieci znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Zgodnie z informacjami dostępnymi na stronie NFZ, na terenie województwa mazowieckiego funkcjonuje 26 świadczeniodawców posiadających umowę na realizację świadczeń z zakresu audiologii i foniatrii. Zgodnie z informacjami dostępnymi na stronie NFZ, na terenie województwa mazowieckiego funkcjonuje 23 świadczeniodawców posiadających umowę na realizację świadczeń z zakresu okulistyki dla dzieci.

Uwagi Rady:

- Cel główny został sformułowany nieprawidłowo.*
- Miernik nr 1 został sformułowany nieprawidłowo.*
- Wnioskodawca nie doprecyzował, w jakiej formie będzie realizowany kontakt z rodzicem/opiekunem prawnym dziecka.*
- Występuje niespójność pomiędzy opisem działań w ramach etapów (charakterystyki realizatora) interwencji (kryteriów włączenia/wyłączenia).*
- Wnioskodawca oszacował całkowity koszt PPZ na 2 800 000 zł, co nie zgadza się z kalkulacją całkowitych kosztów na podstawie kosztów jednostkowych*

oraz liczebności populacji uczestników programu (różnica pomiędzy wartościami jest mała i wynosi 1 319,88 zł.).

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.431.14.2025 „Program polityki zdrowotnej badań przesiewowych w kierunku wykrycia wad słuchu i wzroku u dzieci zamieszkujących województwo mazowieckie”; data ukończenia: październik 2025 oraz aneksów „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r. oraz „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z października 2021 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 189/2025 z dnia 13 października 2025 roku
o projekcie programu „Złap balans – program emocjonalnego
wsparcia i profilaktyka zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży
ze szkół Powiatu Żarskiego na lata 2026-2027”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Złap balans – program emocjonalnego wsparcia i profilaktyka zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży ze szkół Powiatu Żarskiego na lata 2026-2027”, pod warunkiem korekty wniosku zgodnie z uwagami Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez powiat Żarski, zakładający przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej, szkolenia dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych z zakresu zaburzeń depresyjnych, szkoleń dla rodziców i opiekunów prawnych, działań informacyjno-edukacyjnych dla młodzieży, badań przesiewowych dla uczniów w wieku 15-17 lat oraz indywidualnej pomocy psychologicznej dla młodzieży borykającej się z problemem zaburzeń depresyjnych, która została zakwalifikowana do programu. Program ma być realizowany w latach 2026-2027. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 169 500 zł. Program ma być finansowany z budżetu Powiatu Żarskiego. Działania realizowane w ramach programu skierowane będą do młodzieży zamieszkującej Powiat Żarski, rodziców/opiekunów prawnych nastolatków oraz kadry pedagogicznej. Wnioskodawca zaznaczył, że działania informacyjne i edukacyjne skierowane będą do całej populacji młodzieży natomiast działaniami w zakresie indywidualnej i grupowej pomocy psychologicznej zostaną objęci tylko uczniowie szkół dla których organem prowadzącym jest Powiat Żarski w przedziale wiekowym 15-17 lat - łącznie - ok. 2200 osób w zakresie działań edukacyjnych, ok. 2200 osób w zakresie badań przesiewowych, ok. 40 osób w ramach indywidualnej pomocy. Wnioskodawca określił kryteria włączenia i wyłączenia dla poszczególnych uczestników programu. W ramach programu planowana jest realizacja: kampanii informacyjno-edukacyjnej, działań szkoleniowych z zakresu zaburzeń depresyjnych dla kadry pedagogicznej, działań szkoleniowych dla rodziców/opiekunów prawnych młodzieży, działań informacyjno-

edukacyjnych dla młodzieży, badań przesiewowych oraz indywidualnej pomocy psychologicznej dla młodzieży. W opisie projektu wskazano, że badania przesiewowe uczniów w wieku 15-17 lat uczęszczających do szkół dla których organem prowadzącym jest Powiat Żarski przeprowadzone zostaną przez psychologa/pedagoga szkolnego z użyciem testu przesiewowego oceniającego objawy depresyjne. Należy zaznaczyć, że zaplanowane przez wnioskodawcę badania przesiewowe w kierunku zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży w wieku 15-18 lat, znajdują odzwierciedlenie w większości odnalezionych wytycznych. Uczestnicy, którzy w badaniach przesiewowych uzyskają wynik pozytywny, zostaną zakwalifikowani do interwencji terapeutycznej. Wnioskodawca zaznaczył, że dostępność do świadczeń zdrowotnych dla młodych mieszkańców powiatu Żarskiego w rodzaju opieka psychiatryczna jest niewystarczająca. Wskazano, że „realizacja programu polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zaburzeń depresyjnych jest odpowiedzią na zbyt długie oczekiwanie na pomoc lekarza psychiatry czy psychologa”. Ocena zgłaszalności do programu weryfikowana będzie na podstawie następujących wskaźników: „liczba osób zakwalifikowanych do programu”, „liczba osób, które nie zostały objęte działaniami programu z przyczyn zdrowotnych lub z innych powodów (ze wskazaniem tych powodów)”, „liczba osób, które wzięły udział w badaniach przesiewowych”, „liczba osób, które wzięły udział w sesjach terapeutycznych”, „liczba osób zakwalifikowanych do programu”, „liczba rodziców/opiekunów prawnych nastolatków, którzy wzięli udział w psychoedukacji”, „liczba osób, które wzięły udział w szkoleniu dla kadry szkolnej” oraz „liczba osób, które zrezygnowały z udziału w programie na poszczególnych etapach jego trwania wraz z analizą przyczyn tych decyzji”. Należy zaznaczyć, że przedstawione wskaźniki zostały zaprojektowane prawidłowo. Także zaplanowano ocenę jakości i efektywności działania. W projekcie przedstawiono koszty jednostkowe realizacji programu oraz koszt całkowity. W ramach kosztów jednostkowych uwzględniono: 1 500 zł/działanie – koszt działań informacyjno-edukacyjnych dla mieszkańców z powiatu Żarskiego, 1 000 zł/działanie – koszt szkolenia dla wychowawców, pedagogów i psychologów szkolnych z zakresu zaburzeń depresyjnych, 1000 zł/działanie – koszt szkolenia dla rodziców i opiekunów prawnych (7 szkoleń), 40 zł/os. – koszt badania przesiewowego uczniów w wieku 15-17 lat uczęszczających do szkół dla których organem prowadzącym jest Powiat Żarski, 1 8000 zł/działanie – koszt indywidualnej pomocy psychologicznej dla młodzieży borykającej się z problemem zaburzeń depresyjnych (12 spotkań – 150 zł spotkanie), 0 zł – koszt działań informacyjno-edukacyjnych dla młodzieży (24 spotkania). Koszt całkowity programu oszacowany został na 169 500,00 zł. Natomiast program ma zostać sfinansowany ze środków własnych Powiatu Żarskiego jednakże we wniosku wskazano, że „po uzyskaniu pozytywnej opinii AOTMiT, Powiat Żarski wystąpi

do Lubuskiego Oddziału Wojewódzkiego Narodowego Funduszu Zdrowia o dofinansowanie w wysokości 40% na podstawie art. 48d ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. 2024 r. poz. 146) pozostałe 60% środków sfinansuje Powiat Żarski”.

Uwagi Rady:

- *Cel główny i cele szczegółowe:*

Cel główny został zaprojektowany nieprawidłowo, składa się z dwóch odrębnych założeń. Założenie pierwsze dot. poprawy dobrostanu psychicznego zostało sformułowane w sposób zbyt ogólny. Założenie drugie nie odnosi się do efektu zdrowotnego. W projekcie nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych przy celu głównym.

Nie przedstawiono uzasadnienia dla wartości docelowych dla wskazanych celów szczegółowych.

- *Mierniki efektywności:*

Wskaźniki nr 1 i 2 nie odnoszą się bezpośrednio do celów projektu, mogą natomiast zostać wykorzystane przy ewaluacji.

Nie zaplanowano miernika efektywności dla celu szczegółowego nr 1.

- *Planowane interwencje:*

W opisie interwencji nie zaplanowano przeprowadzenia pre- i post-testu wiedzy w populacji młodzieży.

Nie wskazano przykładowego narzędzia, które zostanie wykorzystane w programie w celu przeprowadzenia badań przesiewowych w populacji młodzieży.

- *Etapy PPZ:*

Projekt zawiera zdawkowy opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu.

- *Koszty jednostkowe:*

Wnioskodawca nie uwzględnił kosztów monitorowania i ewaluacji.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.431.13.2025 „Złap balans – program emocjonalnego wsparcia i profilaktyka zaburzeń depresyjnych wśród młodzieży ze szkół Powiatu Żarskiego na lata 2026-2027”; data ukończenia :

październik 2025 oraz Aneksem do raportów szczegółowych: „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 190/2025 z dnia 13 października 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną azithromycinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. mukowiscydoza

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną azithromycinum we wskazaniu pozarejestracyjnym mukowiscydoza.

Uzasadnienie

W opinii nr 168/2022 z dnia 14 listopada 2022 roku Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną azithromycinum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, wskazując, że za jej finansowaniem w podanym wskazaniu przemawiają także analizy efektywności klinicznej, rekomendacje polskich i międzynarodowych towarzystw naukowych, opinie ekspertów klinicznych oraz wydane wcześniej stanowiska Rady.

Wyniki badań klinicznych, które ukazały się od momentu opublikowania poprzedniej opinii, a które uwzględniono w raporcie analitycznym, potwierdzają skuteczność jej stosowania we wnioskowanym wskazaniu. Odnalezione nowe m.in. w ramach przeglądu systematycznego badania wykazały, iż istnieje dodatkowa korzyść zdrowotna płynąca ze stosowania azytromycyny u pacjentów chorych na mukowiscydozę.

Stosowanie azytromycyny jest także zalecane u chorych z mukowiscydozą w wytycznych postępowania klinicznego (NICE, UK).

Rada Przejrzystości podtrzymuje wcześniejszą opinię o zasadności finansowania leku we wskazaniu pozarejestracyjnym: mukowiscydoza.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 191/2025 z dnia 13 października 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną methotrexatum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną methotrexatum we wskazaniu pozarejestacyjnym: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL.

Uzasadnienie

Przedmiotem opinii jest ocena zasadności kontynuacji finansowania ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną methotrexatum we wskazaniu „choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL”. W odniesieniu do przedmiotowego wskazania Rada Przejrzystości trzykrotnie pozytywnie opiniowała refundację methotrexatu (ORP nr 22/2017 z dnia 23 stycznia 2017 r., ORP nr 417/2019 z dnia 16 grudnia 2019 r., oraz ORP nr 169/2022 z 14 listopada 2022 r.).

Methotrexat to lek immunomodulujący stosowany powszechnie od wielu lat w wielu jednostkach chorobowych o podłożu autoimmunizacyjnym. Jakkolwiek dostępne dowody naukowe dotyczące skuteczności methotrexatu w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych innych niż określonych w ChPL są z reguły niskiej jakości, to praktyka kliniczna oraz wytyczne licznych towarzystw naukowych konsekwentnie potwierdzają użyteczność kliniczną methotrexatu zarówno w monoterapii jak i w leczeniu skojarzonym, a także zarówno w leczeniu indukującym, podtrzymującym remisję, jak i redukującym dawkę steroidów. Lek ma także dobrze poznany korzystny profil bezpieczeństwa.

Od czasu wydania ostatniej opinii Rady, nie pojawiły się nowe dowody naukowe, publikacje ani wytyczne kliniczne, które mogłyby wpłynąć na stanowisko Rady w przedmiotowej sprawie.

Uwzględniając powyższe, Rada podtrzymuje poprzednio wyrażoną pozytywną opinię w sprawie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).