



DOR.401.5.2025.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 45/2025
w dniu 20 października 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Małgorzata Bała
2. Robert Bryzek
3. Małgorzata Dziedziak
4. Katarzyna Galas
5. Marcin Kołakowski
6. Marcin Lipowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Jacek Rubik
9. Zbigniew Siudak
10. Małgorzata Sznitowska

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 Mounjaro KwikPen (tirzepatydum) we wskazaniu: cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych co najmniej dwoma lekami hipoglikemizującymi, z HbA1c $\geq 7,5\%$, z otyłością definiowaną jako BMI ≥ 30 kg/m² oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowonaczyniowym rozumianym jako:
 - 1) potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa, lub
 - 2) uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory lub retinopatię, lub
 - 3) obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: -wiek ≥ 55 lat dla mężczyzn, ≥ 60 lat dla kobiet, -dyslipidemia, -nadciśnienie tętnicze, -palenie tytoniu.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Padcev (enfortumabum vedotini) w ramach programu lekowego B.141.FM. „Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10: C61, C65, C66, C67, C68)”.

4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Adcetris (brentuximabum vedotinum) w ramach programu lekowego B.77. „Leczenie chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina (ICD-10: C81)”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów w zakresie profilaktyki uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie produktu leczniczego Ethide (ethionamid) we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie produktu leczniczego Aquipta (atogepantum) we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych z lekooporną migreną przewlekłą.
8. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne trastuzumab i pertuzumab (terapia skojarzona), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakiem dróg żółciowych, z nadekspresją receptora HER2 w komórkach raka lub amplifikacją genu HER2, po udokumentowanej nieskuteczności, zastosowanej w zaawansowanym stadium, chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 lub kolejne linie leczenia).
9. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne dabrafenib i trametynib (terapia skojarzona), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakiem dróg żółciowych, z obecną mutacją V600E w genie BRAF, po udokumentowanej nieskuteczności zastosowanej w zaawansowanym stadium chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 linia leczenia).
10. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych w Gminie Nowiny na lata 2026-2030”.
11. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Malczyce na lata 2026 - 2029”.
12. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka chorób układu ruchu poprzez rehabilitację dla dzieci i młodzieży, aktywnych zawodowo, seniorów” (m. Sulejów).
13. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Marcin Lipowski zgłosił konflikt interesów w odniesieniu do leku Adcetris, w związku z czym Rada uznała za zasadne wyłączenie go z głosowania w zakresie pkt. 4. porządku obrad – jego głos traktowany będzie jako wstrzymujący.

Zbigniew Siudak zgłosił konflikt interesów w odniesieniu do leku Mounjaro KwikPen, w związku z czym Rada uznała za zasadne wyłączenie go z 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. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leku Mounjaro KwikPen (tirzepatydum).

Rada wysłuchała przedstawiciela pacjentów, dopuszczonego do udziału w posiedzeniu. Gość odpowiadał także na pytania Rady.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Zbigniew Siudak i Marcin Lipowski.

W dalszej dyskusji i formułowaniu końcowej wersji uchwały udział wzięli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski, Jacek Rubik, Zbigniew Siudak, Małgorzata Dziedziak i Marcin Lipowski.

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

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

Rada wysłuchała przedstawiciela pacjentów, dopuszczonego do udziału w posiedzeniu.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przedstawili Jacek Rubik i Katarzyna Galas.

Rada przeprowadziła dyskusję i doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Katarzyna Galas, Marcin Kołakowski, Jacek Rubik i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 4. Analitik Agencji omówił raport dot. leku Adcetris.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Małgorzata Sznitowska i Marcin Kołakowski.

W dyskusji oraz w formułowaniu ostatecznej wersji uchwały uczestniczyli: Marcin Lipowski, Małgorzata Dziedziak, Małgorzata Bała i Małgorzata Sznitowska.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych.

Projekt opinii Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz.

W dyskusji Rady uczestniczyły Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz.

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

Ad 1. cd. Rada podjęła decyzję o zmodyfikowaniu treści uchwały, a następnie Prowadząca zarządziła reasumpcję głosowania. Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym” z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko.

Ad 6. Analitik Agencji omówił raport w sprawie produktu leczniczego Ethide.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Małgorzata Sznitowska, Marcin Lipowski i Katarzyna Galas.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

W dalszej dyskusji Rady głos zabrali: Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Sznitowska i Marcin Kołakowski.

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

Ad 7. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. produktu leczniczego Aquipta (atogepantum).

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Katarzyna Galas, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak, Marcin Kołakowski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Katarzyna Galas.

W dalszej dyskusji i doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Małgorzata Bała, Jacek Rubik i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 8. Analitik Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. substancji czynnych trastuzumab z pertuzumabem (terapia skojarzona).

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Lipowski.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Dziedziak, Małgorzata Bała i Marcin Lipowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitik Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. substancji czynnych dabrafenib z trametynibem (terapia skojarzona).

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji Rady głos zabrali Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 10. Analitik Agencji przedstawił prezentacje dot. profilaktyki chorób zakaźnych w gminie Nowiny.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

W formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 11. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Malczyce.

Projekt opinii Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz.

W dyskusji Rady głos zabrali Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz.

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

Ad 12. Analitik Agencji przedstawił prezentacje dot. chorób układu ruchu (m. Sulejów).

Projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek.

W dyskusji Rady udział wzięli Małgorzata Bała i Robert Bryzek.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 13. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 14:55.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 143/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie oceny leku Mounjaro KwikPen (tirzepatyd)
we wskazaniu: cukrzyca typu 2

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 2,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973208,*
- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973215,*
- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 7,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973222,*
- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 10 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973239,*
- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 12,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973246,*
- *Mounjaro KwikPen (tirzepatyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 15 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973253,*

we wskazaniu: cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych co najmniej dwoma lekami hipoglikemizującymi, z HbA1c $\geq$ 7,5%, z otyłością definiowaną jako BMI $\geq$ 30 kg/m² oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym rozumianym jako: 1) potwierdzona choroba sercowo-naczyniowa, lub 2) uszkodzenie innych narządów objawiające się poprzez: białkomocz lub przerost lewej komory lub retinopatię, lub 3) obecność 2 lub więcej głównych czynników ryzyka spośród wymienionych poniżej: wiek $\geq$ 55 lat dla mężczyzn, $\geq$ 60 lat dla kobiet, dyslipidemia, nadciśnienie tętnicze, palenie tytoniu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cukrzyca to grupa chorób metabolicznych, charakteryzujących się hiperglikemią wynikającą z defektu wydzielania lub działania insuliny. Przewlekła hiperglikemia w cukrzycy wiąże się z uszkodzeniem, zaburzeniem czynności i niewydolności różnych narządów, zwłaszcza oczu, nerek, nerwów, serca i naczyń krwionośnych.

Najistotniejszy wpływ na rokowanie w cukrzycy typu 2 mają powikłania sercowo-naczyniowe, zwłaszcza ryzyko wystąpienia udaru mózgu, amputacji. Chociaż cukrzyca jest ważnym czynnikiem ryzyka choroby sercowo-naczyniowej, to w razie wystąpienia powikłań makroangiopatycznych intensywne leczenie hipoglikemizujące nie przynosi tak istotnych korzyści jak leczenie nadciśnienia tętniczego. Dlatego większej wagi nabiera rozpoznawanie stanu przedcukrzycowego i postępowanie behawioralne, mające udowodnioną skuteczność w zapobieganiu lub opóźnianiu rozwoju cukrzycy typu 2.

Aktualne wytyczne praktyki klinicznej w ramach intensyfikacji leczenia hipoglikemicznego u pacjentów z cukrzycą typu 2 oraz bardzo wysokim ryzykiem chorób sercowo-naczyniowych wskazują na zasadność stosowania inhibitorów SGLT2 (flozyny) lub agonistów receptora GLP-1 (w tym semaglutytu oraz dulaglutytu), natomiast u pacjentów z otyłością preferuje się zastosowanie agonistów GLP-1 lub podwójnego agonisty GIP/GLP-1.

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ (obowiązującym od dnia 1.10.2025 r.) zarówno flozyny (kanagliflozyna, dapagliflozyna, empagliflozyna), jak i agoniści GLP-1 (semaglutyd, dulaglutyd) są lekami refundowanymi. Wskazanie refundacyjne flozyn obejmuje pacjentów z cukrzycą typu 2, stosujących co najmniej jeden lek hipoglikemizujący (kanagliflozyna – co najmniej 2 leki), z HbA1c $\geq 7\%$ (kanagliflozyna $\geq 7,5\%$) oraz z bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym (w tym 1 z czynników ryzyka obejmuje otyłość), natomiast semaglutyd oraz dulaglutyd są finansowane we wskazaniu analogicznym do wnioskowanego, obejmującego pacjentów z cukrzycą typu 2 z występującą równocześnie otyłością oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym.

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

Dowody naukowe

Wyniki badania SURPASS-2 po 40 tygodniach obserwacji wskazują na istotną statystycznie przewagę tirzepatytu względem semaglutytu w zakresie:

- kontroli glikemii – dla następujących punktów końcowych:
 - redukcja stężenia HbA1c względem wartości wyjściowych – korzystny efekt terapeutyczny zaobserwowano dla wszystkich dawek TZP (5, 10 i 15 mg), przy czym największą redukcją zaobserwowano w przypadku najwyższej dawki, tj. 15 mg. Nie osiągnięto natomiast IS różnic pomiędzy TZP a SEM w przeprowadzonej analizie w podgrupach ze względu na wyjściowe stężenie HbA1c ($\leq 8,5\%$ i $> 8,5\%$);
 - odsetek pacjentów z HbA1c $< 7,0\%$ oraz odsetek pacjentów z HbA1c $\leq 6,5\%$ – IS różnice dla wszystkich dawek TZP (estymand EE) lub dla dawek 10 i 15 mg (estymand TRE);
 - odsetek pacjentów z HbA1c $< 5,7\%$ – IS różnice dla wszystkich dawek TZP;

- zmiana poziomu glukozy w surowicy na czczo (FSG) względem wartości wyjściowych – IS różnice dla wszystkich dawek TZP;
- zmiana średniej 7-punktowej samodzielnej kontroli glikemii (SMBG) względem wartości wyjściowych – w odniesieniu do całkowitej średniej dziennej IS różnice dla wszystkich dawek TZP;
- redukcji masy ciała – dla następujących punktów końcowych:
 - zmiana masy ciała względem wartości wyjściowych – IS różnice dla wszystkich dawek TZP, przy czym największą redukcję masy ciała zaobserwowano u pacjentów stosujących najwyższą dawkę TZP, tj. 15 mg;
 - odsetek pacjentów z $\geq 5\%$ utratą masy ciała – IS różnice dla wszystkich dawek TZP;
 - odsetek pacjentów z $\geq 10\%$ utratą masy ciała – IS różnice dla wszystkich dawek TZP;
 - odsetek pacjentów z $\geq 15\%$ utratą masy ciała – IS różnice dla wszystkich dawek TZP;

Wyniki badania dotyczącego skuteczności praktycznej (Anson 2024), uzyskane w 12-miesięcznym okresie obserwacji, dla porównania TZP vs SEM wskazują na istotnie statystycznie wyższe ryzyko wystąpienia neuropatii cukrzycowej oraz niższe ryzyko wystąpienia udaru mózgu oraz złożonego punktu końcowego obejmującego: niewydolność serca, ostry zespół wieńcowy, udar niedokrwienny mózgu i zgon z jakiegokolwiek przyczyny. Ponadto w grupie TZP znamienne niższe było ryzyko zgonu z jakiegokolwiek przyczyny.

Wyniki metaanalizy sieciowej Ayesh 2024 wskazują na istotną statystycznie przewagę tirzepatytu w dawce 15 mg nad semaglutydem (w dawkach: 2 mg, 1 mg oraz 0,5 mg) oraz dulaglutydem (w dawkach: 1,5 mg oraz 0,75 mg) w zakresie redukcji HbA1C. Tirzepatyd w niższych dawkach (10 i 5 mg) wykazał natomiast przewagę nad semaglutydem (w dawkach: 1 mg oraz 0,5 mg) oraz dulaglutydem (w dawkach: 1,5 mg oraz 0,75 mg).

Wyniki metaanalizy sieciowej Caruso 2023 wskazują na istotną statystycznie przewagę tirzepatytu w dawce 15 oraz 10 mg nad semaglutydem (w dawce 2 mg) oraz dulaglutydem (w dawkach: 1,5 mg oraz 0,75 mg) w zakresie redukcji HbA1C. Tirzepatyd w najniższej dawce (5 mg) wykazał istotną statystycznie przewagę wyłącznie nad dulaglutydem w obu ocenianych dawkach (4,5 mg i 3 mg). Wyniki dla skuteczności mierzonej redukcją masy ciała wskazują na istotną statystycznie przewagę tirzepatytu we wszystkich ocenianych dawkach nad semaglutydem oraz dulaglutydem.

Wyniki metaanalizy sieciowej Karagiannis 2023 wskazują, że w zakresie redukcji HbA1C jedynie tirzepatyd w dawce 15 wykazał istotną statystycznie przewagę nad semaglutydem (w dawce 2 mg). Tirzepatyd we wszystkich ocenianych

dawkach wykazał przewagę nad semaglutydem (w dawkach 1 mg i 0,5 mg). Wykazano istotne statystycznie zmniejszenie masy ciała u pacjentów leczonych tirzepatydem w dawce 15 mg względem chorych leczonych semaglutydem, niezależnie od dawki. Tirzepatyd w dawce 10 mg wykazał istotną statystycznie przewagę nad semaglutydem w dawce 1 mg i 0,5 mg, a tirzepatyd w dawce 5 mg – nad semaglutydem w dawce 0,5 mg. W analizie klinicznej źródło informacji o efektywności klinicznej tirzepatydu względem semaglutydu oraz dulaglutydu stanowiło również nieopublikowane opracowanie wtórne Wnioskodawcy (materiały poufne).

W badaniu SURPASS-2, w 40-tygodniowym okresie obserwacji, nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy TZP a SEM w odniesieniu do ryzyka zdarzeń niepożądanych ogółem, zdarzeń niepożądanych związanych z przewodem pokarmowym ogółem, zgonów, zapalenia trzustki a także hipoglikemii (w tym poważnej hipoglikemii). Częstość występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych była istotnie większa w grupie pacjentów otrzymujących tirzepatyd w porównaniu do grupy otrzymującej SEM; najczęstszym SAE we wszystkich grupach było zapalenie płuc w przebiegu COVID-19. W grupie TZP istotnie wyższy był również odsetek AE prowadzących do zaprzestania leczenia (dot. TZP w dawkach 10-15 mg).

Najczęściej raportowanymi AE były zdarzenia dotyczące układu pokarmowego (nudności, biegunka, zaparcia, wymioty, zmniejszenie apetytu i ból brzucha); dla większości z nich nie odnotowano jednak istotnych statystycznie różnic pomiędzy TZP a SEM. Istotnie większą częstość występowania raportowano w przypadku biegunki (dla porównania TZP 10 mg vs SEM) oraz zmniejszenia apetytu (dla porównania TZP 15 mg vs SEM). Ponadto w grupach otrzymujących TZP znamienne wyższe było ryzyko wystąpienia reakcji w miejscu wkłucia.

W dokumentacji rejestracyjnej FDA (label) dla produktu leczniczego Mounjaro wskazuje się, że tirzepatyd powoduje guzy wywodzące się z komórek C tarczycy u szczurów. Równocześnie wskazuje się, że znaczenie tych obserwacji u ludzi nie zostało ustalone. Niemniej jednak, wśród przeciwwskazań do leczenia, wymienia się osobistą lub rodzinną historię raka rdzeniastego tarczycy (MTC) lub występowanie zespołu mnogiej gruczolakowatości wewnątrzwydzielniczej typu 2 (MEN 2). Podkreśla się, że personel medyczny powinien poinformować pacjentów o potencjalnym ryzyku MTC oraz o objawach guzów tarczycy. W kontekście powyższego należy zwrócić uwagę na odmienne podejście EMA do kwestii bezpieczeństwa terapii. Dokumentacja rejestracyjna EMA (ChPL) nie zawiera szczegółowych informacji w tym zakresie. Należy również podkreślić rozbieżność podejścia w określeniu przeciwwskazań do leczenia – w ChPL EMA nie wymienia się grup pacjentów wskazanych przez FDA. W ChPL uwzględniono wyłącznie informację wynikach badań przedklinicznych wskazujących na zwiększone prawdopodobieństwo rozwoju nowotworów tarczycy z komórek C

(gruczolaków i raków) we wszystkich dawkach w porównaniu z kontrolą. Równocześnie wskazuje się, że znaczenie tych obserwacji dla ludzi jest nieznane. Niemniej jednak pojawiają się doniesienia wskazujące na zwiększone prawdopodobieństwa rozwoju nowotworów tarczycy u pacjentów stosujących leki z grupy agonistów receptora GLP-1 (m.in. analiza przeprowadzona na podstawie danych bazy FAERS za okres 2004 – 2024).

Biorąc pod uwagę powyższe, konieczne jest potwierdzenie profilu bezpieczeństwa tirzepatydu w obserwacjach długoterminowych oraz zasadnym wydaje się monitorowanie pacjentów pod kątem potencjalnego rozwoju raka rdzeniastego tarczycy.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne krajowe i międzynarodowe zgodnie wskazują cel terapeutyczny jako osiągnięcie wartości hemoglobiny glikowanej (HbA1c) $\leq 7\%$ (53 mmol/mol) u większości dorosłych pacjentów z cukrzycą typu 2 (PTD 2025, ADA 2025, ESC 2023, ADA/EASD 2022, NICE 2022), podkreślając przy tym konieczność indywidualizacji celu terapeutycznego. U młodszych pacjentów, z krótkim czasem trwania choroby i bez ryzyka hipoglikemii, można dążyć do niższych wartości HbA1c ($\leq 6,5\%$), natomiast u osób starszych, z wielochorobowością i ograniczoną przewidywaną długością życia, dopuszcza się mniej rygorystyczne cele (HbA1c 8,0-8,5%).

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi w przypadku leczenia cukrzycy typu 2 leczenie farmakologiczne opiera się w pierwszej kolejności na lekach doustnych – najczęściej metforminie. W przypadku pacjentów z wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym, przewlekłą chorobą nerek lub niewydolnością serca, rekomenduje się wczesne zastosowanie terapii skojarzonej, obejmującej metforminę oraz inhibitor SGLT2 (flozynę) i/lub agonistę receptora GLP-1.

Wytyczne zgodnie wskazują na priorytetowe stosowanie leków o udowodnionym działaniu sercowo-naczyniowym i nefroprotekcyjnym, takich jak inhibitory SGLT2 i agoniści GLP-1. U osób dorosłych z cukrzycą typu 2 i rozpoznaną chorobą lub wysokim ryzykiem miażdżycowej choroby sercowo-naczyniowej, niewydolności serca i/lub przewlekłej choroby nerek, plan leczenia powinien obejmować leki mające wpływ na redukcję ryzyka chorób sercowo-naczyniowych i nerek (np. inhibitory SGLT2 i/lub agonistów receptora GLP-1) w celu kontrolowania glikemii i kompleksowej redukcji ryzyka sercowo-naczyniowego, niezależnie od poziomu HbA1c i z uwzględnieniem czynników specyficznych dla danego pacjenta.

W przypadku pacjentów z nadwagą/otyłością preferowane są leki inkretynowe – agoniści GLP-1 lub podwójni agoniści GIP/GLP-1, ze względu na ich korzystny wpływ na masę ciała i parametry metaboliczne. (PTD 2025, ADA 2025).

Wytyczne ADA 2025 oraz PTD 2025 rekomendują łączenie insuliny z GLP-1 RA lub GIP/GLP-1 RA w celu zwiększenia skuteczności leczenia i redukcji masy ciała.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami Wnioskodawcy stosowanie tirzepatytu (TZP) w miejsce semaglutydu (SEM) i dulaglutytu (DUL) jest droższe i skuteczniejsze. Refundacja wnioskowanej technologii będzie się wiązać ze wzrostem wydatków płatnika publicznego dodatkowo od kilkuset milionów do ponad miliarda zł rocznie w kolejnych latach.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono łącznie 6 wydanych rekomendacji refundacyjnych – 3 pozytywne (HAS 2024, SMC 2024 (aktualizacja 2025), NICE 2023 (aktualizacja 2025) oraz 3 negatywne (PBAC 2023, PBAC 2023, G-BA/IQWiG 2024). Należy przy tym podkreślić, że żadna ze zidentyfikowanych rekomendacji refundacyjnych nie odnosi się dokładnie do wnioskowanej populacji, obejmując populację szerszą niż wnioskowana.

W rekomendacjach pozytywnych podkreślano głównie wykazane korzyści kliniczne w zakresie redukcji poziomu HbA1c oraz masy ciała dla tirzepatytu względem semaglutydu oraz insulinoterapii, natomiast w rekomendacjach negatywnych zwracano uwagę na fakt ograniczonej dostępności danych dotyczących twardych punktów końcowych, jak również brak efektywności kosztowej oraz konieczność obniżenia ceny leku.

Główne argumenty decyzji:

1. Brak badań pierwotnych o wysokiej wiarygodności (RCT) porównujących skuteczność kliniczną i bezpieczeństwo tirzepatytu z dulaglutylem (dostępne dane w tym zakresie stanowią wyłącznie wyniki metaanaliz sieciowych) oraz brak danych z badań klinicznych z randomizacją dla skuteczności TZP w zakresie wpływu leczenia na klinicznie istotne punkty końcowe, tj. zdarzenia sercowo-naczyniowe;
2. Brak jednoznacznych badań w odległej obserwacji klinicznej w odniesieniu do zwiększonego ryzyka nowotworów m.in. tarczycy;
3. Bardzo wysoki koszt dla płatnika publicznego i brak propozycji RSS;
4. Rozbieżne decyzje refundacyjne w innych krajach.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DIPOTM.423.3.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Mounjaro (tirzepatyd) we wskazaniu: cukrzyca typu 2 u pacjentów leczonych co najmniej dwoma lekami hipoglikemizującymi, z HbA1c $\geq$ 7,5%, z otyłością definiowaną jako BMI $\geq$ 30 kg/m² oraz bardzo wysokim ryzykiem sercowo-naczyniowym”; data ukończenia: 8 października 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 144/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie oceny leku Padcev (enfortumabum vedotini) w ramach
programu lekowego B.141.FM. „Leczenie pacjentów z rakiem
urotelialnym (ICD-10: C61, C65, C66, C67, C68)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Padcev (enfortumabum vedotini), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 20 mg, 1 fiol. proszku, GTIN: 05909991487430,*
- *Padcev (enfortumabum vedotini), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 30 mg, 1 fiol. proszku, GTIN: 05909991487447,*

w ramach programu lekowego B.141.FM. „Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10: C61, C65, C66, C67, C68)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia RSS zapewniającego osiągnięcie efektywności kosztowej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Padcev (enfortumabum vedotini) w ramach programu lekowego B.141.FM w monoterapii, w leczeniu raka urotelialnego miejscowo zaawansowanego lub z przerzutami u dorosłych pacjentów, którzy otrzymali wcześniej chemioterapię opartą na pochodnych platyny i inhibitor receptora programowanej śmierci komórki 1 lub inhibitor ligandu programowanej śmierci komórki 1.

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

Zaproponowany RSS obejmuje:



Rak urotelialny to nowotwór wywodzący się z nabłonka przejściowego, który najczęściej lokalizuje się w pęcherzu moczowym (ok. 90% przypadków), rzadziej w miedniczce nerkowej, moczowodzie lub cewce moczowej i innych narządach układu moczowego. Choroba występuje głównie u osób starszych, a szczyt zachorowalności przypada na 65-69 rok życia. W Polsce w 2022 roku zarejestrowano ok. 6,9 tys. nowych zachorowań i ok. 4 tys. zgonów z powodu raka pęcherza moczowego. W ostatnich dekadach obserwowany jest systematyczny wzrost zapadalności, związany m.in. ze starzeniem się populacji. Polska cechuje się jednocześnie jednym z najwyższych wskaźników śmiertelności w Unii Europejskiej.

Rokowanie w raku urotelialnym jest zróżnicowane i zależy od stopnia zaawansowania, typu histologicznego, stanu ogólnego pacjenta oraz zastosowanego leczenia. Odsetek pięcioletnich przeżyć wynosi poniżej 50%. Postacie powierzchniowe nawracają u 50-80% chorych, a w 10-25% przypadków progresują do raka inwazyjnego. Nowotwór często daje przerzuty do węzłów chłonnych, płuc, wątroby i kości, a w przypadku uogólnienia rokowanie jest niepomyślne – pięcioletnie przeżycia osiąga jedynie ok. 8% pacjentów.

Enfortumab vedotyny to koniugat przeciwciało-lek (ang. Antibody Drug Conjugate, ADC) ukierunkowany na nektynę-4, białko adhezyjne znajdujące się na powierzchni komórek raka urotelialnego. Składa się ono z w pełni ludzkiego przeciwciała IgG1 kappa, sprzężonego ze środkiem niszczącym mikrotubule monometylo aurystatyną E (ang. Monomethyl Auristatin E, MMAE).

Aktywność przeciwnowotworowa enfortumabu wedotyny polega na wiązaniu ADC do komórek wykazujących ekspresję nektyny-4, a następnie internalizacji kompleksu ADC-nektyna4 i uwolnieniu MMAE przez rozszczepienie proteolityczne. Uwolnienie MMAE rozrywa sieć mikrotubul w komórce, powodując następnie zatrzymanie cyklu komórkowego, apoptozę oraz immunogenną śmierć komórki.

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi, poza enfortumabem wedotyny, pacjentom z zaawansowanym lub przerzutowym rakiem urotelialnym po uprzednim leczeniu chemioterapią platynową i immunoterapią zaleca się chemioterapię, tj. paklitaksel lub docetaksel, winfluninę, gemcytabinę w monoterapii lub w skojarzeniu z cisplatyną lub z paklitakselem, a także gemcytabinę w schemacie z ifosfamidem i doksorubicyną.

Pacjentom z rearanżacją w genie FGFR2/3 lub FGFR3 rekomenduje się terapię erdafitynibem, z kolei chorzy z ekspresją genów HER2, IHC 3+ powinni być leczeni z wykorzystaniem trastuzumabu derukstekanu.

W wybranych sytuacjach klinicznych, m. in. pacjentom w dobrym stanie ogólnym, u których nie powiodły się poprzednie linie leczenia (w tym terapie celowane, tj. immunoterapia, enfortumab wedotyny lub erdafitynib), zaleca się terapię sacytuzumabem gowitekanu.

Poza ww. opcjami terapeutycznymi, wytyczne rekomendują również leczenie z wykorzystaniem DDMVAC (intensyfikowanego schematu dawkowania: metotreksat, winblastyna, doksorubicyna i cisplatyna; ang. dose-dense methotrexate, vinblastine, doxorubicin and cisplatin) z terapią wspomagającą czynnikami wzrostu, nefrouretektością (w ramach leczenia paliatywnego u pacjentów z miejscowo zaawansowanymi guzami, które można usunąć chirurgicznie) oraz udział w badaniach klinicznych.

Lek był już dwukrotnie przedmiotem oceny AOTMiT:

- TLI 2023 – został umieszczony na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności;
- AWA nr OT.423.1.35.2025 – lek oceniany był w innym wskazaniu (w skojarzeniu z pembrolizumabem w pierwszej linii leczenia raka urotelialnego w stadium miejscowego zaawansowania poza możliwościami miejscowego leczenia o charakterze radykalnym lub w stadium uogólnienia).

Dowody naukowe

Przegląd systematyczny wnioskodawcy uwzględnił różne badania i publikacje dotyczące leku Padcev, w tym badanie rejestracyjne EV-301, 3 badania jednoramienne (EV-201, EV-101 i EV-203) oraz 35 badań z rzeczywistej praktyki klinicznej.

W randomizowanym, otwartym badaniu EV-301 oceniano skuteczność enfortumabu wedotyny w porównaniu ze standardową chemioterapią (paklitakselem, docetakselem lub winfluniną) u pacjentów z zaawansowanym lub przerzutowym rakiem urotelialnym, u których doszło do progresji choroby po leczeniu chemioterapią opartą o pochodną platyny oraz inhibitor PD-1/PD-L1. Ocenę większości punktów końcowych przeprowadzono dwukrotnie: w zaplanowanej analizie śródkresowej (mediana okresu obserwacji: 11,1 mies.; data odcięcia danych: 15.07.2020 r.) oraz po dodatkowych 12 miesiącach obserwacji (data odcięcia danych: 30.07.2021 r.).

W grupie leczonych enfortumabem wedotyny wykazano statystycznie istotną przewagę nad chemioterapią w zakresie OS, PFS, ORR i DCR w obu analizach (śródkresowej oraz w wydłużonym okresie obserwacji).

Wyniki dla mediany okresu obserwacji 23,9 miesiąca (DCO: 30.07.2021 r.) wyglądały następująco:

- mediana OS (EV vs. CTH) [mies.]: 12,9 vs. 9,0; HR = 0,70, p = 0,00015;
- mediana PFS (EV vs. CTH) [mies.]: 5,6 vs. 3,7; HR=0,63, p < 0,00001;
- wartość ORR (EV vs. CTH) [%]: 41,3 vs. 18,6; RR = 2,22, RD = 0,23, p < 0,0001;
- wartość DCR (EV vs. CTH) [%]: 71,9 vs. 53,5; RR = 1,35, RD = 0,18, p < 0,0001.

Zarówno mediana DOR, jak i szacowany odsetek pacjentów z odpowiedzią utrzymującą się po upływie 6 miesięcy były nieznacznie niższe wśród chorych leczonych EV w porównaniu do tych przyjmujących terapię CTH w obu analizowanych okresach. Z kolei TTR był zbliżony między EV a CTH (ok. 1,9 miesiąca). Autorzy badania nie przeprowadzili statystycznego porównania DOR i TTR między grupami EV i CTH.

Istotnym ograniczeniem analizy było również nieuwzględnienie jako komparatora erdafitynibu (ERDA), który stanowi obecnie alternatywną opcję terapeutyczną dla pacjentów z mutacjami w genie FGFR3 w ocenianym wskazaniu, ale został objęty refundacją po złożeniu wniosku refundacyjnego przez wnioskodawcę. Wyniki pośredniego porównania metodą MAIC (porównanie z dopasowaniem populacji, ang. matching-adjusted indirect comparison): ERDA vs. EV (Van Sanden 2024) wskazują jednak na brak istotnych statystycznie różnic w zakresie przeżycia całkowitego, przeżycia wolnego od progresji oraz uzyskania obiektywnej odpowiedzi choroby pomiędzy ERDA a EV.

Z danych z SMPT dla programu lekowego B.141.FM oraz systemu sprawozdawczego NFZ wynika, że w warunkach polskiej praktyki klinicznej odsetek ORR uzyskany w populacji pacjentów leczonych w ramach programu lekowego był porównywalny z wynikami odnotowanymi w badaniu EV-301 (43,2% vs. 40,6%). Mediana OS w analizowanej populacji pacjentów była nieznacznie niższa w porównaniu z wynikami EV-301 (11,9 vs. 12,9 mies.),

natomiast mediany PFS i DOR (odpowiednio 7,7 vs. 5,6 mies. i 9,4 vs. 7,4 mies.), oraz wskaźnik DCR (86,5% vs. 71,9%) okazały się wyższe niż w grupie chorych uczestniczących w badaniu rejestracyjnym.

Wyniki analizy jakości życia (QoL) ocenianej za pomocą kwestionariuszy EORTC-QLQ-C30 i EQ-5D-5L wykazały, że w porównaniu ze standardową CTH, leczenie EV wiązało się z istotnie większym prawdopodobieństwem uzyskania potwierdzonej, klinicznie istotnej poprawy w zakresie wszystkich sześciu skal funkcjonalnych i czterech skal objawowych, tj. w odniesieniu do zmęczenia, bólu, duszności i zaparc (p < 0,05). Analiza skali VAS kwestionariusza EQ-5D-5L również wykazała, że terapia EV wiązała się z większym, niż leczenie CTH, istotnym statystycznie prawdopodobieństwem uzyskania poprawy w zakresie QoL: 26,0% vs. 18,3%; RR = 1,42.

W badaniu EV-301 zdarzenia niepożądane zaistniałe w trakcie leczenia (TEAE) wystąpiły u większości pacjentów leczonych zarówno EV, jak i CTH (98% vs. 99%). Ciężkie zdarzenia niepożądane odnotowano u ok. 47% pacjentów w grupie EV i 44% chorych w grupie CTH. W grupie EV, częściej w porównaniu do grupy CTH, raportowano TEAEs ≥ 3 . stopnia oraz TEAEs prowadzące do zgonu.

Najczęściej występujące, w grupach EV i CTH, ciężkie zdarzenia niepożądane (SAEs) obejmowały m.in. kolejno: zakażenia i zarażenia pasożytnicze (17,6% vs. 11,7%), zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania (8,1% vs. 8,2%), zaburzenia żołądka i jelit (7,1% vs. 9,3%), zaburzenia nerek i dróg moczowych (9,5% vs. 5,2%) oraz zaburzenia krwi i układu chłonnego (4,1% vs. 11%).

Zdarzenia uznane za związane z leczeniem (TRAEs) i prowadzące do wycofania leczenia oraz TRAEs prowadzące do zgonu występowały nieznacznie częściej w grupie EV, niż w grupie CTH. TRAEs dowolnego stopnia nasilenia występowały częściej wśród pacjentów leczonych z wykorzystaniem EV, w porównaniu do chorych otrzymujących CTH. W grupie EV rzadziej niż w grupie CTH, obserwowano natomiast zaburzenia hematologiczne (DCO: 15.07.2020 r.).

Wytyczne kliniczne

Wnioskowane leczenie jest rekomendowane we wszystkich odnalezionych wytycznych klinicznych: polskich (PTOK 2024), europejskich (EAU 2025, ESMO 2022 i ESMO 2024) oraz amerykańskich (NCCN 2025). We wszystkich poziom cytowanych dowodów naukowych uznano za wysoki.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna wnioskodawcy została przeprowadzona w formie analizy kosztów-użyteczności (CUA).

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, stosowanie enfortumabu wedotyny w miejsce chemioterapii (paklitaksel, docetaksel) jest [REDAKTOWANE]. Oszacowany ICUR dla porównania EV vs. DP wyniósł ok. [REDAKTOWANE] zł/QALY

w wariancie z RSS. Wartość ta znajduje się [] progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie 2-letnim. W przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o kontynuacji finansowania enfortumabu wedotyny ze środków publicznych nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o około [] zł w 1. roku oraz o około [] zł w 2. roku (z uwzględnieniem RSS). Z kolei w przypadku braku uwzględnienia instrumentu podziału ryzyka, prognozowany wzrost wydatków całkowitych wyniesie około 40 mln zł w 1. roku oraz około 59 mln zł w 2. roku.

Głównym ograniczeniem analizy wpływu na budżet jest niepewność związana z oszacowaną w ramach analizy prognozowaną liczbą pacjentów, którzy będą stosować enfortumab wedotyny w przypadku jego dalszej refundacji ze środków publicznych. Wnioskodawca wskazuje, że wynika ona z prognozowanego zwiększenia liczebności populacji docelowej w kolejnych latach analizy w związku z rozpowszechnieniem się terapii uzupełniającej niwolumabem. Należy również zaznaczyć, że ewentualne objęcie refundacją terapii EV+P w pierwszej linii leczenia Ia/mUC (obecnie trwające postępowania refundacyjne), może wpłynąć z kolei na zmniejszenie liczebności populacji docelowej dla ocenianej technologii. Dodatkowo, od 1 lipca 2025 r. dostępna jest opcja alternatywna (erdafitynib), właściwa dla grupy pacjentów z mutacjami FGFR3 w ocenianym wskazaniu, której nie uwzględniono w analizach wnioskodawcy.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 3 rekomendacje pozytywne (CDA-AMC, G-BA, HAS) oraz informację o jednej przerwanej ocenie (NICE). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na wydłużenie czasu przeżycia całkowitego w porównaniu z chemioterapią. W rekomendacji CDA-AMC zalecono refundację enfortumabu wedotyny w ocenianym wskazaniu, pod warunkiem spełnienia określonych warunków, w tym obniżenia ceny leku.

Główne argumenty decyzji

- Ważny problem medyczny – celowane leczenie choroby o dużej zapadalności, złym rokowaniu i wyższej niż w innych krajach europejskich umieralności;
- Skuteczność potwierdzona w badaniach naukowych;
- Leczenie rekomendowane w polskich (PTOK 2024), europejskich (EAU 2025, ESMO 2022 i ESMO 2024) oraz amerykańskich (NCCN 2025) wytycznych klinicznych;
- Pozytywne rekomendacje refundacyjne (CDA-AMC, G-BA, HAS);
- Zapewnienie kontynuacji leczenia pacjentom już otrzymującym lek;

- *Istotne zwiększenie wydatków dla płatnika publicznego;*
- *Niepewność oszacowania liczby pacjentów, którzy będą stosować enfortumab wedotyny w II linii leczenia.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DIPOTM.423.1.2.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Padcev (enfortumab wedotyny) we wskazaniu: zgodnym z zapisami programu lekowego B.141.FM. Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10: C61, C65, C66, C67, C68)”, data ukończenia: 9 października 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. 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 (Astellas Pharma Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Astellas Pharma Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907) 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: Astellas Pharma Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 145/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie oceny leku Adcetris (brentuksymab vedotin) w ramach
programu lekowego B.77. „Leczenie chorych na klasycznego
chłoniaka Hodgkina (ICD-10: C81)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Adcetris (brentuksymab vedotin), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 50 mg, 1 fiol., GTIN: 05909991004545; w ramach programu lekowego B.77. „Leczenie chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina (ICD-10: C81)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Adcetris (brentuksymab vedotin) w ramach programu lekowego B.77. „Leczenie chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina (ICD-10: C81)”.

Chłoniak Hodgkina to klonalny rozrost tzw. komórek Reed i Sternberga oraz komórek Hodgkina, głównie w obrębie węzłów chłonnych. Według danych NFZ liczba dorosłych pacjentów z tą chorobą wyniosła 8 905 w 2024 r. W 2022 r. odnotowano 802 zachorowania oraz 137 zgonów z powodu chłoniaka Hodgkina, w tym w grupie wiekowej od 60 r. ż. odnotowano odpowiednio 146 zachorowań i 84 zgony. Przy stosowaniu współczesnych strategii leczenia 80–90% chorych zostaje trwale wyleczonych. U 10% chorych we wczesnych i u 25–30% w zaawansowanych stadiach choroby dochodzi do nawrotu lub oporności na leczenie.

Wnioskowane wskazanie dla leku Adcetris jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym i dotyczy nieleczonych wcześniej dorosłych pacjentów z chłoniakiem Hodgkina CD30+ w stadium zaawansowania choroby IIB z czynnikami ryzyka oraz stadium III lub IV w skojarzeniu z etopozydem, cyklofosfamidem, doksorubicyną, dakarbazyną i deksametazonem (BrECADD).

Obecnie produkt Adcetris w ramach schematu BrECADD podlega finansowaniu w PL B.77 u wcześniej nieleczonych dorosłych pacjentów z chłoniakiem Hodgkina w wieku od 18 lat do 60 lat w III i IV stadium zaawansowania choroby. W związku z powyższym, przedmiotowa ocena dotyczy rozszerzenia istniejącego programu

lekowego B.77. poprzez objęcie refundacją produktu Adcetris w ramach schematu BrECADD u dorosłych pacjentów w stadium IIB choroby z czynnikami ryzyka oraz w populacji 60+ w stadium III i IV zaawansowania choroby.

Dowody naukowe

Jako komparatory w analizach Wnioskodawcy przyjęto schemat BrAVD w populacji pacjentów z chłoniakiem Hodgkina w III lub IV stadium zaawansowania) oraz schemat eBEACOPP (BEACOPP eskalowany – bleomycyna, etopozyd, doksorubicyna, cyklofosfamid, winkrystyna, prokarbazyna, prednizon) w populacji pacjentów w stadium zaawansowania choroby IIB z czynnikami ryzyka.

Wybór Wnioskodawcy nie uwzględnia wszystkich opcji leczenia dostępnych w Polsce. W stadium IIB choroby obok eBEACOPP w Polsce stosowane i refundowane też są schematy ABVD (doksorubicyna, bleomycyna winblastyna, dakarbazyna) i BGD (bendamustyna, gemcytabina i deksametazon), natomiast w stadium III-IV powyżej 60 r.ż.: BGD.

Do przeglądu systematycznego Wnioskodawcy włączono dwa badania randomizowane: HD21 oraz ECHELON-1. W badaniu HD21 porównano schemat BrECADD ze schematem eBEACOPP u dorosłych pacjentów w wieku 18-60 lat z chłoniakiem Hodgkina w stadium IIB, III i IV. Należy zaznaczyć, że nie w każdym elemencie analizy została wydzielona grupa pacjentów w stadium IIB. W wyniku zmiany protokołu badania HD21 włączono do niego również kohortę pacjentów w wieku 61-75 lat. Celem badania ECHELON-1 było porównanie schematu BrAVD (brentuksymab vedotin, doksorubicyna, winblastyna i dakarbazyna) w porównaniu ze schematem ABVD (doksorubicyna, bleomycyna winblastyna, dakarbazyna) w populacji dorosłych pacjentów (18+) z chłoniakiem Hodgkina w III lub IV stadium zaawansowania. W ramieniu BrAVD populacja pacjentów w wieku 60+ obejmowała 74 osoby.

Badanie Ferninandus 2025 (pełnotekstowa wersja doniesienia konferencyjnego) dotyczyła wyników dla kohorty 61-75 lat oraz bezpieczeństwa (funkcje rozrodcze) wśród chorych w wieku 18-60 lat. Abstrakt konferencyjny Visentin 2025 stanowił metaanalizę oraz porównanie bezpośrednie terapii BrECADD, ABVD, A-AVD (BrAVD), Nivo-AVD, ABVDesc oraz BEACOPPdesc.

Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących skuteczność i bezpieczeństwo schematu BrECADD z BrAVD. Nie odnaleziono również badań wtórnych porównujących skuteczność i bezpieczeństwo schematu BrECADD vs. eBEACOPP / BrAVD w leczeniu chłoniaka Hodgkina.

Populacja 18-60 lat

W badaniu HD21 wykazano, że terapia brentuksymabem vedotin w schemacie BrECADD vs. eBEACOPP w I linii leczenia pacjentów w IIB, III i IV stadium

zaawansowania HL wiązała się z IS zmniejszeniem ryzyka PFS (zdef. jako progresja choroby, nawrót choroby lub zgon) w ciągu mediany 4-letniego okresu obserwacji o 34% (HR=0,66; 95%CI: 0,45; 0,97; $p=0,035$), lecz przede wszystkim różnica dotyczyła pacjentów w wieku 18-39 lat.

Odsetek pacjentów w ramieniu BrECADD osiągających 4-letnie przeżycie wolne od progresji wynosił 96,5%, 95,1% oraz 92,8%, odpowiednio w stadium IIB, III oraz IV zaawansowania choroby. 4-letnie przeżycie całkowite (OS) uzyskano u 98,6% chorych leczonych schematem BrECADD vs 98,2% pacjentów w grupie eBEACOPP. Zgony wynikające z toksyczności leczenia wystąpiły wyłącznie w grupie eBEACOPP (0,4%). Odsetek pacjentów osiągających 4-letnie przeżycie wolne od zdarzeń (EFS) był numerycznie wyższy w grupie BrECADD vs eBEACOPP (91,4% (95% CI: 89,3; 93,5) vs 88,2% (95% CI: 85,9; 90,7)).

Wyniki metaanalizy Visentin 2025 wskazują na IS redukcję ryzyka progresji lub zgonu w ciągu 3-letniego okresu obserwacji dla schematu BrECADD w porównaniu z A-AVD (tzw. BrAVD) o 65% (HR = 0,35; 95% CI: 0,26–0,48; $p < 0,0001$). Odsetek pacjentów osiągających 3-letnie przeżycie wolne od progresji (PFS) w grupie leczonej schematem BrECADD wyniósł 94,5% i był IS wyższy w porównaniu z grupą otrzymującą schemat ABVD (79%) oraz A-AVD (tzw. BrAVD, 90%). Odsetek pacjentów osiągających 3-letnie całkowite przeżycie (OS) w grupie leczonej schematem ABVD wyniósł 95% i był IS niższy w porównaniu z pozostałymi strategiami terapeutycznymi, w których 3-letnie OS osiągnęło 97-99% pacjentów ($p<0,0001$). IS różnic w zakresie OS nie odnotowano u pacjentów otrzymujących schemat A-AVD (tzw. BrAVD) vs. BrECADD (HR=0,63; 95% CI: 0,33; 1,20; $p=0,9943$).

W badaniu HD21 stosowanie schematu BrECADD w porównaniu z leczeniem eBEACOPP wiązało się z IS niższym ryzykiem wystąpienia co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego związanego z leczeniem (ok. 42% vs 59%) oraz zdarzeń hematologicznych, takich jak anemia, trombocytopenia czy infekcja 4. stopnia (ok. 31% vs 52%), w okresie trwania terapii lub do 30 dni po podaniu ostatniej dawki chemioterapii, lecz różnice nie były IS po 12 miesiącach od zakończenia leczenia. Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w częstości występowania toksyczności narządowej stopnia 3.–4.

IS rzadziej w ramieniu BrECADD vs eBEACOPP w okresie leczenia lub 30 dni po podaniu ostatniej dawki chemioterapii występowały: anemia, trombocytopenia, leukopenia, neuropatia obwodowa czuciowa, zaburzenia układu nerwowego inne niż neuropatia oraz zaburzenia układu oddechowego, klatki piersiowej i śródpiersia. IS częściej w ramieniu BrECADD w porównaniu do eBEACOPP obserwowano: gorączkę neutropeniczną, zaburzenia serca oraz zaburzenia żołądkowo-jelitowe. Do najczęstszych zdarzeń niepożądanych prowadzących do redukcji dawki należały: trombocytopenia w przypadku schematu BrECADD (23% pacjentów leczonych) oraz leukopenia w przypadku

schematu eBEACOPP (34% pacjentów leczonych). Nie odnotowano IS różnicy w częstości występowania jakichkolwiek pierwotnych nowotworów wtórnych w grupie pacjentów stosujących schemat BrECADD vs eBEACOPP (2,6% vs 1,8%).

Zestawienie wyników bezpieczeństwa z badań HD21 oraz ECHELON-1 w grupie chorych leczonych schematem BrECADD wskazuje na numerycznie mniejsze ryzyko występowania jakiegokolwiek zdarzenia związanego z leczeniem (TRMB) w porównaniu do schematu BrAVD, a także neuropatii obwodowej czuciowej i ruchowej jakiegokolwiek stopnia.

Wyniki metaanalizy Visentin 2025 wskazują na IS częstsze występowanie neutropenii i cytopenii ≥ 3 . stopnia oraz gorączki neutropenicznej w schemacie BrECADD oraz BEACOPP (deeskalowany) vs pozostałe schematy leczenia. IS częściej w schemacie A-AVD (BrAVD) odnotowywano neuropatię ≥ 3 . Stopnia (8-11%) vs. ABVD i BrECADD (<1%).

Populacja 61-75 lat

Odsetek pacjentów, u których uzyskano całkowitą remisję (CR) wyniósł około 87% w populacji ITT (Intent-to-Treat, N=84/83) oraz 90% w populacji per protocol (N=78) w ciągu mediany okresu obserwacji wynoszącej 23 miesiące. Przeżycie wolne od progresji odnotowano u 95,1% (95% CI: 90; 100) pacjentów po 1 roku oraz u 91,5% chorych po 2 latach (95% CI: 85; 98) leczenia schematem BrECADD. Całkowite 1- i 2-letnie przeżycie uzyskano u odpowiednio 96,2% i 90,7% pacjentów leczonych schematem BrECADD. Odsetek zgonów w populacji ITT wyniósł 9%, z czego jedynie 2% przypadków dot. zgonu z powodu chłoniaka Hodgkina.

Częstość występowania co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego związanego z leczeniem, w kohorcie pacjentów w wieku 61-75 lat wyniosła 77% (95% CI: 67-86). Wyniki wskazują na numerycznie częstsze ryzyko występowania gorączki neutropenicznej wśród chorych leczonych schematem BrECADD (N=84) vs BrAVD (N=83) (54% vs 37%) w okresie trwania leczenia oraz do 30 dni po jego zakończeniu.

W drugim cyklu leczenia oraz w momencie jego zakończenia (EOT) obserwowano nasilenie objawów w zakresie zmęczenia, nudności/wymiotów, bezsenności, utraty apetytu oraz biegunki względem wartości wyjściowych; jednocześnie odnotowano zmniejszenie nasilenia bólu, duszności oraz zaparć. W trakcie leczenia schematem BrECADD w kohorcie pacjentów w wieku 61–75 lat obserwowano pogorszenie funkcjonowania poznawczego, fizycznego i społecznego, ale w zakresie funkcjonowania emocjonalnego oraz ogólnego stanu zdrowia obserwowano poprawę jakości życia względem wartości wyjściowych. Po zakończeniu leczenia nastąpiła ogólna poprawa jakości życia, a w trzecim roku po zakończeniu leczenia odnotowano dalszy wzrost jakości życia

względem wartości wyjściowych we wszystkich domenach, jednak wartości dla funkcjonowania emocjonalnego oraz ogólnego stanu zdrowia były niższe o odpowiednio 0,3 pkt oraz o 4,6 pkt niż w drugim roku obserwacji.

Wśród ograniczeń analizy należy wskazać niepełny charakter danych dla populacji IIB oraz pacjentów w wieku ≥ 60 lat. W przypadku chorych w stadium IIB zaawansowania choroby z czynnikami ryzyka brak jest szczegółowych wyników skuteczności i bezpieczeństwa, natomiast dane dla pacjentów starszych (61-75 lat) pochodzą głównie z abstraktu konferencyjnego (Ferdinandus 2024a) i suplementu do badania Ferdinandus 2025 (Ferdinandus 2025s), obejmujące jedynie leczenie schematem BrECADD, bez ramienia porównawczego. Dodatkowo, protokół badania HD21 nie zakładał stratyfikacji pacjentów ze względu na stadium zaawansowania choroby, co ogranicza możliwość wiarygodnej interpretacji wyników w poszczególnych podgrupach. Raportowanie wyników w badaniu HD21 było niepełne – brakowało wartości HR z przedziałami ufności, pełnych danych dla drugorzędowych punktów końcowych (m.in. CR) oraz informacji o rzeczywistych okresach obserwacji, które oszacowano jedynie na podstawie liczby cykli leczenia. Dane dotyczące jakości życia (HRQoL) miały charakter ograniczony, ponieważ wyniki przedstawiono jedynie w ramach analizy post-hoc dla części pacjentów (populacja niemiecka), bez prospektywnie zaplanowanej oceny w całej populacji. Ponadto, brak badań umożliwiających bezpośrednie lub pośrednie porównanie skuteczności i bezpieczeństwa schematów BrECADD i BrAVD spowodował, że przeprowadzono jedynie syntezę jakościową opartą na badaniach o odmiennych m.in. definicjach punktów końcowych oraz okresach obserwacji. W analizie nie uwzględniono wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa leczenia schematem BrECADD w porównaniu z innymi rekomendowanymi i refundowanymi w Polsce opcjami terapeutycznymi stosowanymi w leczeniu chłoniaka Hodgkina, które, jak schematy ABVD, BGD (w stadium IIB) czy BGD (w stadium III–IV u pacjentów powyżej 60. r.ż.) mogłyby stanowić dodatkowe komparatory dla ocenianej interwencji.

Wytyczne kliniczne

Odnalezione rekomendacje kliniczne z 2025 r. wskazują, że BrECADD stanowi jedną z opcji leczenia w stadium IIB do 60 r.ż. obok ABVD lub nivo-AVD (ESMO 2025, NCCN 2025), BrAVD (ESMO 2025) i eBEACOPP (NCCN 2025) oraz w III-IV stadium zaawansowania choroby obok nivo-AVD lub BrAVD (NCCN, ESMO) lub ABVD (NCCN). W populacji powyżej 60 r.ż. wytyczne wskazują na ABVD lub nivo-AVD (NCCN, ESMO) albo eBEACOPP (ESMO) w II stadium oraz nivo-AVD (III i IV stadium). BSH 2025 we wczesnej niekorzystnej choroba zaleca eBEACOPP + 2 cykle ABVD lub ABVD, a w zaawansowanej postaci choroby do 60 r.ż.: ABVD lub eBEACOPP.

Aktualnie w Polsce w populacji dorosłych pacjentów (18+) z uprzednio nieleczonym chłoniakiem Hodgkina w stadium IIB zaawansowania z czynnikami ryzyka stosuje się schematy: ABVD (u 70% pacjentów, jest to technologia najtańsza), BEACOPPesc (u 25%, jest to technologia najskuteczniejsza) oraz BGD. Z kolei w populacji pacjentów w wieku 60+ z uprzednio nieleczonym chłoniakiem Hodgkina w stadium III i IV zaawansowania obecnie wg eksperta stosuje się BrAVD (u 80% pacjentów, technologia najskuteczniejsza), BGD (u 10%, technologia najtańsza) oraz leczenie paliatywne (u 10% pacjentów).

Problem ekonomiczny

Nie jest możliwe oszacowanie populacji docelowej ze względu na fakt, że proponowany program lekowy zawęża populację kryteriami włączenia/wyłączenia. W 2024 r. brentuksymab wedotyny w leczeniu opornego lub nawrotowego chłoniaka Hodgkina w ramach PL B.77 otrzymało 514 pacjentów.

Zaproponowano mechanizm dzielenia ryzyka polegający na określeniu [REDACTED] produktu leczniczego Adcetris [REDACTED]

Ustalona kategoria refundacyjna, poziom odpłatności oraz grupa limitowa nie budzą zastrzeżeń.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy zastosowanie w populacji 18-60 lat schematu BrECADD w miejsce schematu eBEACOPP jest [REDACTED]

Oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie z RSS wyniosła [REDACTED] i znajduje się [REDACTED] progu opłacalności,. Natomiast oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie bez RSS wyniosła 296 030,03 PLN/QALY i znajduje się powyżej progu opłacalności.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy zastosowanie u osób 60+ schematu BrECADD w miejsce schematu eBEACOPP jest [REDACTED]

Oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie z RSS wyniosła [REDACTED] przy uwzględnieniu RSS – wartość parametru ICUR znajduje się [REDACTED] progu opłacalności. Oszacowana wartość parametru ICUR w wariancie bez RSS wyniosła 284 313,93 PLN/QALY i znajduje się powyżej progu opłacalności.

Przy uwzględnieniu kosztów dodatkowych tj.: kosztów podania oraz chemioterapeutyków w wariancie uwzględniającym RSS, roczne łącznie koszty terapii lekiem Adcetris stosowanym w schemacie BrECADD wyniosły [REDACTED] i były [REDACTED] od kosztów terapii lekiem Adcetris stosowanym w schemacie BrAVD.

Wyznaczone przez wnioskodawcę wartości progowych cen zbytu netto leku, przy których koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7

ustawy wynoszą w wariantcie z RSS/ bez RSS: [REDACTED]. Oszacowana wartość progowa jest [REDACTED] od wnioskowanej ceny zbytu netto z RSS.

Przy uwzględnieniu populacji pacjentów powyżej 60 r.ż., wartości progowe wynoszą w wariantcie z RSS/ bez RSS: [REDACTED]. Oszacowana wartość progowa jest [REDACTED] od wnioskowanej ceny zbytu netto.

Jako główne ograniczenie analizy należy wskazać brak badań bezpośrednio porównujących wnioskowany schemat BrECADD ze schematem BrAVD CD30+. Wyniki dotyczące kohorty pacjentów 60+ przedstawiono jedynie w formie abstraktu konferencyjnego, tym samym raportowanie jest niepełne i nie zostało poddane ocenie peer review. Ze względu na brak dowodów naukowych porównujących interwencję wnioskowaną z komparatorem w populacji 60+ wnioskowanie w tej grupie pacjentów jest obarczone niepewnością.

[REDACTED] spowoduje wzrost liczby pacjentów z HL leczonych brentuksymabem vedotin o populację chorych w stadium IIB zaawansowania choroby [REDACTED]

[REDACTED]. Liczebność populacji stosującej schemat BrECADD w analizie oszacowano na [REDACTED]

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy w wariantcie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją terapii Adcetris w ramach wnioskowanego wskazania nastąpi [REDACTED]

[REDACTED] wzrost o ok. 1,83 mln PLN w I. roku i spadek o ok. 0,47 mln PLN w II. roku refundacji (bez uwzględnienia RSS). [REDACTED]

W wariantcie minimalnym pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z oszczędnościami dla płatnika publicznego [REDACTED] 2,91 mln PLN w I roku i 6,68 mln PLN w II roku refundacji (wariant bez RSS) oraz [REDACTED]

W wariantcie maksymalnym pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z dodatkowymi wydatkami NFZ w wariantcie bez RSS: 6,24 mln PLN w I roku i 5,71 mln PLN w II roku refundacji, z kolei [REDACTED]

Przedstawiona przez Wnioskodawcę BIA nie odpowiada sytuacji rzeczywistej w przypadku scenariusza istniejącego. W scenariuszu istniejącym przyjęto, że schemat BrECADD nie jest finansowany ze środków publicznych, natomiast

od 1 stycznia 2025 r. podlega finansowaniu w ramach PL B. u pacjentów z nieleczonym uprzednio chłoniakiem Hodgkina w 1. linii leczenia w wieku od 18 lat do 60 lat włącznie w III lub IV stadium zaawansowania. Ponadto Wnioskodawca zaproponował instrument

Ponadto Wnioskodawca nie uwzględnił w BIA wszystkich komparatorów stosowanych we wnioskowanych wskazaniach, w tym schematu ABVD, który został wskazany przez eksperta jako najczęściej stosowany i najtańszy w populacji pacjentów dorosłych z uprzednio nieleczonym chłoniakiem Hodgkina w stadium IIB zaawansowania z czynnikami ryzyka

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla skojarzenia Adcetris (brentuksymab vedotin) z etopozydem, cyklofosfamidem, doksorubicyną, dakarbazyną i deksametazonem (schemat BrECADD) w populacji wnioskowanej. Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, lek Adcetris w leczeniu chłoniaka Hodgkina w schemacie BrECADD jest finansowany

Główne argumenty decyzji:

- Brak jest dowodów naukowych na przewagę wnioskowanej terapii nad obecnie refundowanymi terapiami alternatywnymi w grupie pacjentów w stadium IIB choroby z czynnikami ryzyka;
- Niedostateczna analiza toksyczności w populacji pacjentów 60+;
- W analizie ekonomicznej Wnioskodawca nie uwzględnił wszystkich komparatorów, w tym najczęściej stosowanego i najtańszego schematu ABVD (doksorubicyna, bleomycyna, winblastyna, dakarbazyna);
- Brak rekomendacji refundacyjnych z innych krajów.

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: DRe.423.1.4.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Adcetris (brentuksymab vedotin) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na klasycznego chłoniaka Hodgkina (ICD-10: C81)”; data ukończenia: 9 października 2025r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a-4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 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: Takeda Pharma A/S



Opinia Rady Przejrzystości
nr 192/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań
przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz
warunków realizacji tych programów, dotyczących profilaktyki
uzależnień

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie w ramach programów polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych:

1. *programów profilaktycznych,*
 2. *działań informacyjno-edukacyjnych,*
- wg zaktualizowanych wytycznych.*

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. Rekomendacje Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów podlegają aktualizacji nie rzadziej niż co 5 lat. Rekomendacja Prezesa AOTMiT dotycząca programów profilaktyki uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych została wydana 30 listopada 2020 (rekomendacja 12/2020).

Agencja do dnia 29.08.2025 roku otrzymała od jednostek samorządu terytorialnego 3 raporty końcowe z realizacji programów polityki zdrowotnej dotyczących profilaktyki uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych oraz 3 oświadczenia o przygotowaniu projektu programu polityki zdrowotnej zgodnie z rekomendacją nr 12/2020.

Problem zdrowotny

Dane epidemiologiczne dotyczące spożywania alkoholu, stosowania substancji psychoaktywnych i palenia tytoniu wśród młodzieży i młodych dorosłych:

- W roku 2024, 72,9% nastolatków między 15 a 16 r.ż. stwierdziło, że kiedykolwiek piło alkohol. W przypadku osób między 17 a 18 r.ż., 91,3% uczniów potwierdziło spożycie alkoholu na przestrzeni swojego życia (Europejski Program Badań Ankietowych w Szkołach (ESPAD) 2024). W roku 2021 zdecydowanie wzrósł odsetek uczniów spożywających piwo (49% vs. 66%) oraz wódkę (28% vs. 62%) (Krajowe Centrum przeciwdziałania Uzależnieniom (KCPU) 2023). W roku 2021 z powodu nadużywania alkoholu zmarło w sumie 14 048 osób. W zdecydowanej większości przypadków powodem zgonu były choroby wątroby wynikające z nadmiernego spożycia alkoholu (9 230 osób) (KCPU 2023).
- W porównaniu do roku 1992, odsetek osób przyznających się do zażywania narkotyków wzrósł o 8% (z 5% w 1992 do, 13% w roku 2021) (ESPAD 2024). W roku 2021 z powodu nadużywania narkotyków zmarło w sumie 289 osób (KCPU 2023). W roku 2024, najczęściej stosowaną używką wśród młodzieży, zarówno między 15 a 16 r.ż. (16,9%), jak i między 17 a 18 r.ż. (33,1%), pozostaje marihuana (ESPAD 2024).
- Odsetek uczniów palących 1-5 papierosów na dzień w grupie nastolatków między 17 a 18 r.ż. jest większy niż w grupie między 15 a 16 r.ż. i wynosi 6,6% (ESPAD 2024). W roku 2024, 56,7% nastolatków między 15 a 16 r.ż. potwierdziło, że korzystało z e-papierosów. W przypadku starszej kohorty (między 17 a 18 r.ż.), odsetek ten wyniósł 69,5%. (ESPAD 2024).

Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania, warunki realizacji

Profilaktyka i rozwiązywanie problemów alkoholowych jest celem działania Krajowego Centrum Przeciwdziałania Uzależnieniom (KCPU), które podlega ministrowi właściwemu do spraw zdrowia. Organy administracji rządowej i samorządu terytorialnego są obowiązane do podejmowania działań zmierzających do ochrony zdrowia przed następstwami używania tytoniu. Ponadto mogą one wspierać w tym zakresie działalność medycznych samorządów zawodowych, organizacji społecznych, fundacji, instytucji i zakładów pracy, a także współdziałać z kościołami i innymi związkami wyznaniowymi. Działalność w zakresie przeciwdziałania narkomanii prowadzi Krajowe Biuro do Spraw Przeciwdziałania Narkomanii (KBPN). W ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień dostępne są interwencje mające na celu profilaktykę, leczenie oraz rehabilitację osób uzależnionych od substancji psychoaktywnych. Interwencje te dostępne są zarówno dla młodzieży, jak i osób dorosłych. Wsparcie telefoniczne dla osób uzależnionych i ich rodzin można uzyskać korzystając z „Pomarańczowej Linii” oraz Telefonu Zaufania „Narkotyki-Narkomania” (KCPU2023, KCPU 2017). Obecnie w ramach Szwajcarsko-Polskiego Programu

Współpracy realizowany jest program „ARS, czyli jak dbać o miłość?”, którego głównym celem jest edukacja uczniów szkół ponadpodstawowych na temat skutków zdrowotnych używania substancji psychoaktywnych (SSEW 2025). Ze świadczeń w poradniach dla osób uzależnionych od substancji psychoaktywnych z zakresu leczenia uzależnień w roku 2024 skorzystało 273,3 tys. pacjentów (BASiW 2025). Ze świadczeń z zakresu leczenia uzależnień od tytoniu w roku 2023 skorzystało jedynie 125 pacjentów (BASiW 2024). W ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu programów zdrowotnych dostępny jest „Program profilaktyki chorób odtytoniowych, w tym przewlekłej obturacyjnej choroby płuc (POChP)”. Zakończyła się realizacja programu „Ogólnopolski program profilaktyki uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych” (2019 – 2023).

Eksperti kliniczni są zgodni co do zasadności prowadzenia przez jednostki samorządu terytorialnego PPZ nakierowanych na profilaktykę uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych przede wszystkim wśród młodzieży i młodych dorosłych według aktualnych wytycznych określonych w Narodowym Programie Zdrowia. Ważna jest identyfikacja osób o podwyższonym ryzyku wystąpienia uzależnień od substancji psychoaktywnych, przeprowadzanie badań przesiewowych (AAFP wskazuje szereg zalecanych kwestionariuszy przesiewowych), podejmowanie lub przekierowanie osób uzależnionych na terapię oraz prowadzenie szkoleń dla personelu medycznego z zakresu sposobów komunikacji z osobami uzależnionymi oraz metod motywowania do rzucenia nałogu. Programy profilaktyczne powinny wykorzystywać przede wszystkim wiodące strategie profilaktyczne zalecane przez ENST 2025, NICE 2025, KCPU 2025, NIZP PZH PIB 2020. Nowe wytyczne wskazują, że zaleca się oferowanie poradnictwa grupowego oraz telefonicznego wszystkim osobom palącym (PPE 2022) oraz wykorzystanie urządzeń mobilnych do niesienia pomocy osobom uzależnionym od nikotyny (NIZP PZH PIB 2020).

Dowody naukowe dotyczące efektów interwencji edukacyjno/behawioralnych oraz programów profilaktycznych

Wyniki metaanaliz wskazują, że interwencje behawioralne (Kock 2019) lub proaktywne porady telefoniczne (Matkin 2019) prowadzą do istotnego podwyższenia prawdopodobieństwa rzucenia lub ograniczenia palenia tytoniu. Realizowane w szkołach programy profilaktyczne (Lekamge 2025) lub zaangażowanie rodziców prowadzą do obniżenia ryzyka regularnego palenia tytoniu przez młodzież (Rifat 2025).

Interwencje oparte na wiadomościach tekstowych istotnie zwiększały prawdopodobieństwo zaprzestania korzystania z e-papierosów po >6 miesiącach ich stosowania (Butler 2025). Ten ostatni efekt jest ważny, gdyż korzystanie przez dzieci i młodzież z e-papierosów prowadzi do istotnego statystycznie podwyższenia prawdopodobieństwa palenia papierosów (Yoong 2021).

Wyniki metaanaliz nie wykazały statystycznie istotnego wpływu działań edukacyjnych na ograniczenie spożycia alkoholu przez młodzież i dzieci (Hodder 2017; Carney 2016). Nie stwierdzono, żeby programy profilaktyczne ukierunkowane na problem spożycia alkoholu w populacji młodzieży skutecznie zmniejszały częstotliwość picia alkoholu, ani zachowania związane z upijaniem się wśród młodzieży. Programy te jednak znacząco zmniejszyły ilość spożywanego alkoholu (Cho 2021). Interwencje wykorzystujące technologie cyfrowe mają istotny wpływ na spożywanie alkoholu (O'Logbon 2024).

Natomiast obecność zespołu uzależnień od Internetu wśród dzieci i młodych dorosłych prowadzi do istotnego statystycznie podwyższenia szansy spożywania przez nich alkoholu oraz palenia tytoniu (Wang 2022).

Nie wykazano statystycznie znamiennego efektu interwencji behawioralnych na używanie środków odurzających (O'Connor 2020). Natomiast korzystanie z wyrobów zawierających nikotynę, determinuje istotne statystycznie zwiększenie szansy na korzystanie z wyrobów zawierających kanabis ogółem (Yimer 2024).

Opcjonalne technologie medyczne

W ramach aktualnie obowiązujących wytycznych klinicznych oraz dostępnych wtórnych dowodów naukowych, możliwe jest realizowanie następujących interwencji:

- działań informacyjno-edukacyjnych;
- poradnictwa antyżywkowego;
- konsultacji specjalistycznych;
- stosowanie kwestionariuszy przesiewowych w kierunku uzależnienia od poszczególnych substancji psychoaktywnych;
- edukacji dla rodziców;
- szkoleń dla personelu medycznego.

Działania informacyjno-edukacyjne dotyczące szkodliwości spożywania alkoholu i palenia tytoniu oraz chorób wywoływanych przez substancje psychoaktywne (KCPU 2025, NICE 2025) powinny być kierowane nie tylko do młodych osób, ale również do nauczycieli, rodziców i opiekunów.

Działania te powinny uwzględniać rolę mass mediów w edukacji (NIZP PZH PIB 2020).

Zalecane są również szkolenia dla pracodawców z zakresu przeciwdziałania używkom w miejscu pracy.

Wskazano na efektywność krótkich porad antynikotynowych (3-5 minut), świadczonych przez lekarzy lub innych specjalistów w zakresie zdrowia.

Wykazano, że wdrożenie poradnictwa antynikotynowego w połączeniu ze świadczeniami z zakresu pediatrii jest efektywne w zwiększaniu odsetka

rodziców decydujących się zachować abstynencję celem ochrony dzieci przed biernym paleniem (ENST 2025).

Należy zniechęcać dzieci, młodzież i młodych dorosłych, którzy nie palą do eksperymentowania z e-papierosami lub ich regularnego używania.

Programy szkolne powinny być dalej wdrażane i wzmacniane, ponieważ wykazano, że szkoła ma znaczący potencjał wspierania zdrowia (Vaihekoski 2022). Wykazano, że przeprowadzenie programu profilaktycznego w szkole zwiększa szansę na zapobieżenie rozpoczęcia przyjmowania narkotyków przez młode osoby (Hodder 2017).

Wskazano na potrzebę prowadzenia edukacji wśród lekarzy ginekologów i położnych oraz kobiet w wieku prokreacyjnym na temat ryzyka związanego z piciem alkoholu w okresie ciąży i poprzedzającym ciążę - ryzyka związanego z FAS/FASD.

Wszyscy lekarze rodzinni i pielęgniarki powinni zostać przeszkoleni w świadczeniu minimalnej interwencji wspierającej porzucenie palenia tytoniu. Przeszkolony personel powinien być gotowy do wspierania pacjenta w dążeniu do abstynencji, poprzez chociażby poinformowanie go o dostępnym leczeniu farmakologicznym (ENST 2025).

Wskaźniki monitorowania i ewaluacji

Rada uznaje za zasadne stosowanie wskaźników monitorowania i ewaluacji, które były uwzględnione w rekomendacji nr 12/2020 Prezesa AOTMiT, uzupełnionych na podstawie opinii konsultantów.

Mierniki efektywności

- Odsetek osób (świadczeniobiorcy + personel medyczny), u których w post-teście odnotowano wysoki poziom wiedzy, względem wszystkich osób, które wypełniły pre-test.
- Odsetek przedstawicieli personelu medycznego, u których w post-teście odnotowano wysoki poziom wiedzy, względem wszystkich osób z personelu medycznego, które wypełniły pre-test.
- Odsetek świadczeniobiorców, u których w post-teście odnotowano wysoki poziom wiedzy, względem wszystkich świadczeniobiorców, którzy wypełnili pre-test.
- Odsetek pracodawców, u których w post-teście odnotowano wysoki poziom wiedzy, względem wszystkich pracodawców, którzy wypełnili pre-test.
- Odsetek osób uzależnionych od substancji psychoaktywnych, u których doszło do ograniczenia lub całkowitego zaprzestania użytkowania danej substancji, w stosunku do wszystkich osób poddanych interwencji antyżywkowej
- Odsetek dzieci i młodzieży objętej rekomendowanymi programami profilaktyki uzależnień w stosunku do wszystkich uczniów objętych programem

Monitorowanie realizacji programu

1. Ocena zgłaszalności do programu:

- Liczba osób, które zgłosiły się do udziału w programie i wzięły udział w wywiadzie kwalifikacyjnym;
- Liczba osób zakwalifikowanych do udziału w programie polityki zdrowotnej;
- Liczba osób, które zostały poddane działaniom edukacyjno-informacyjnym;
- Liczba osób, które zrezygnowały z udziału w programie na każdym zaplanowanym etapie;
- Liczba dzieci i młodzieży, które wzięły udział w zaplanowanych szkoleniach z zakresu profilaktyki uzależnień od substancji psychoaktywnych;
- Liczba osób poddanych interwencji antyżywkowej;
- Liczba osób, które nie zostały objęte działaniami programu polityki zdrowotnej z przyczyn zdrowotnych lub z innych powodów (ze wskazaniem tych powodów);
- Liczba osób, która zrezygnowała z udziału w programie na każdym zaplanowanym etapie.

2. Ocena jakości świadczeń w ramach programu:

- Każdemu uczestnikowi PPZ należy zapewnić możliwość wypełnienia ankiety satysfakcji z jakości udzielanych świadczeń zdrowotnych;
- Ocena jakości może być przeprowadzana przez zewnętrznego eksperta.

Ewaluacja

- Odsetek osób, u których doszło do ograniczenia lub całkowitego porzucenia nałogu;
- Odsetek osób, u których doszło do wystąpienia uzależnienia od substancji psychoaktywnych pomimo przeprowadzonych działań profilaktycznych, w stosunku do wszystkich osób uczestniczących w programie;
- Liczba osób, u których doszło do wzrostu poziomu wiedzy (przeprowadzenie pre-testu i post-testu) na temat uzależnień od substancji psychoaktywnych;
- Odsetek osób, u których doszło do stwierdzenia obecności uzależnienia od jakichkolwiek substancji psychoaktywnych;
- Odsetek osób skierowanego na leczenie w związku z obecnością uzależnienia od substancji psychoaktywnych;
- Odsetek osób uzależnionych od nikotyny, u których doszło do ograniczenia lub całkowitego zaprzestania palenia tytoniu, w stosunku do wszystkich osób poddanych interwencji antyżywkowej.

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.434.3.2025 „Profilaktyka uzależnień od alkoholu i innych substancji psychoaktywnych u młodzieży i młodych dorosłych”, Warszawa, październik 2025.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 146/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację Ethide
(etionamid) we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację Ethide (etionamid), tabletki, we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Obecna ocena jest kolejną cykliczną weryfikacją zasadności kontynuacji refundacji przedmiotowej technologii. Dotychczas wydawane były następujące pozytywne Stanowiska Rady Przejrzystości nr 108/2018 oraz nr 3/2022 oraz pozytywne Rekomendacje Prezesa Agencji nr 106/2018 oraz nr 3/2022 w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego substancji czynnej etionamid (tabletki) we wskazaniu gruźlica płuc wielolekooporna.

Dowody naukowe

W metaanalizie sieciowej Abraham 2024 uwzględniono 11 badań (4 RCT oraz 7 kohortowych), łącznie $n=3\,548$ dotyczących leczenia gruźlicy wielolekoopornej lub opornej na rifampicynę (MDR/RR-TB). Celem przeglądu było porównanie skuteczności i bezpieczeństwa krótkich (w tym 6-miesięczny schemat zawierający etionamid) oraz dłuższych (>18 miesięcy) schematów stosowanych w leczeniu MDR/RR-TB. Etionamid stosowany był jedynie w 1 krótkim schemacie, natomiast mógł być częścią różnych standardowych dłuższych schematów w ramieniu komparatora. Nie przeprowadzono porównania ze schematami różniącymi się jedynie etionamidem. Wykazano, iż korzystne efekty zdrowotne (wyleczenie, zakończenie terapii i konwersja hodowli) osiągnęto częściej dla 6-miesięcznej terapii z użyciem bedakiliny, linezolidu, lewofloksacyny, pirazynamidu, terizydonu/etionamidu/izoniazidu (BdqLzdLfxZTrd/Eto/H), (RR=2,2; 95% CI: 1,22; 4,13) w porównaniu do standardowych dłuższych schematów. Do retrospektywnego badania kohortowego Morgan 2024 włączono pacjentów leczonych schematami zawierającymi nie mniej niż 5 leków, z powodu gruźlicy wielolekoopornej/opornej na rifampicynę (MDR/RR-TB) na terenie całej Republiki Południowej Afryki od 1 stycznia do 31 grudnia 2017 roku oraz od 1 stycznia

do 31 grudnia 2019 roku. Do analizy włączono 817 pacjentów stosujących schemat zawierający etionamid (stosowany przez 4 z 9 miesięcy) oraz 4244 pacjentów stosujących schemat z linezolidem (stosowany w schemacie przez 2 z 9 miesięcy terapii). Autorzy publikacji wskazują, iż około 2% pacjentów chorowało na gruźlicę pozapłucną. W publikacji przedstawiono wyniki jedynie w formie porównania schematów zawierających linezolid vs etionamid.

Po 24 miesiącach od rozpoczęcia leczenia nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic w odsetku pacjentów z powodzeniem terapii. Skorygowane ryzyko względne (aRR) dla porównania linezolid vs etionamid wynosiło 0,96 (95% CI: 0,91; 1,01), podobnie dla odsetka pacjentów, którzy przeżyli do 24 miesięcy aRR=1,01 (95% CI: 0,87; 1,17).

Wśród pacjentów z opornością na izoniazyd na początku leczenia, prawdopodobieństwo skuteczności leczenia było niższe w grupie otrzymującej linezolid aRR=0,90 (95% CI: 0,83; 0,97), w porównaniu do grupy etionamidu. We wszystkich schematach leczenie gruźlicy lekoopornej ryzyko wystąpienia działań niepożądanych o różnym charakterze jest wysokie i zawsze należy w kalkulować to ryzyko.

Dodatkowo odnaleziono 2 dokumenty wytycznych praktyki klinicznej dotyczące leczenia gruźlicy opublikowane po dacie ostatniego stanowiska Rady: WHO 2025 oraz ATS/CDC/ERS/IDSA 2024. Wytyczne ATS/CDC/ERS/IDSA 2024 biorą pod uwagę jedynie aktualizację wytycznych WHO 2022 oraz CDC 2023 pod względem włączenia wyników najnowszych badań, w związku z czym przedstawiono jeden zalecany schemat w leczeniu MDR-TB, który nie zawierał w sobie etionamidu: bedakilina, pretomanid i linezolid.

Autorzy wytycznych WHO 2025 zwracają uwagę na preferencje stosowania krótkich schematów (6-miesięcznych) w porównaniu do 9-miesięcznych i dłuższych w leczeniu MDR-TB. Zależnie od wykrytych oporności, możliwe jest stosowanie różnych schematów leczenia, jednak najczęściej stosowanymi lekami są bedakilina i linezolid. W przypadku stosowania dłuższych schematów (18-miesięcznych) zaleca się w pierwszej kolejności stosowanie 3 leków z grupy A (lewofloksacyna lub moksyflokscyna, bedakilina i linezolid) oraz 1 z grupy B (klofazymina i cykloseryna lub teryzydona). Jeżeli niemożliwe jest podanie 3 leków z grupy A, należy podać 1 lub 2 oraz 2 z grupy B. Dopiero w przypadku niemożności stworzenia schematu z leków z grupy A i B, możliwe jest uzupełnienie schematu o leki z grupy C (etambutol, delamanid, pirazynamid, cylastatyna+imipenem lub meropenem, amikacyna (lub streptomycyna), etionamid lub protionamid oraz kwas p-aminosalicylowy). Jednakże należy nadmienić, iż etionamid jest warunkowo niezalecany, jedynie w przypadku niestosowania wcześniej bedakiliny, linezolidu, klofazyminy lub delamanidu lub gdy nie ma lepszych opcji możliwych do włączenia do schematu.

Przedmiotowe rekomendacje nie odbiegają od tych jakie obowiązywały w latach ubiegłych, kiedy Rada oraz Prezesa wydawali swoje pozytywne rozstrzygnięcia.

Problem ekonomiczny

Oszacowany koszt Ethide na jednego pacjenta w kolejnym roku refundacji wynosi około 1 228,29 PLN, a populacja docelowa kształtuje się na poziomie kilku pacjentów.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak jest refundowanego komparatora dla przedmiotowej technologii, (protionamid),*
- *Brak danych wpływających negatywnie na poprzednie pozytywne rozstrzygnięcia,*
- *Niskie koszty technologii.*

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 [nazwa i numer opracowania nr: DCh.4211.1.2025 Aneks do opracowania: OT.4211.43.2021 oraz OT.4311.36.2018 „Ethide (etionamid) we wskazaniu: gruźlica płuc wielolekooporna”; data ukończenia: 15 października 2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 147/2025 z dnia 20 października 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Aquipta
(atogepantum) we wskazaniu dot. leczenia lekoopornej migreny
przewlekłej

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Aquipta (atogepantum), tabletki, we wskazaniu: leczenie pacjentów dorosłych z lekooporną migreną przewlekłą.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Aquipta zawiera atogepant (ATO) – substancję będącą antagonistą receptora CGRP zarejestrowaną do leczenia profilaktycznego migreny. Zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym, Aquipta jest przeznaczona do stosowania w profilaktyce migreny u osób dorosłych, u których występują co najmniej 4 dni z migreną w miesiącu. Zalecana dawka to 60 mg atogepantu przyjmowane raz na dobę.

Lek jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej w procedurze centralnej, ale aktualnie nie jest dostępny w krajowym obrocie.

Aktualnie w Polsce w ramach programu lekowego B.133. „Profilaktyczne leczenie chorych na migrenę przewlekłą (ICD-10: G43)” finansowane są: toksyna botulinowa typu A, erenumab, eptinezumab, framanezumab. Do leczenia toksyną botulinową typu A lub lekami anty-CGRP mogą zostać zakwalifikowani dorośli pacjenci, chorzy na migrenę przewlekłą, mający co najmniej 15 dni z bólem głowy w miesiącu przez co najmniej 3 kolejne miesiące, z których 8 spełnia kryteria rozpoznania migreny zgodnie ICHD. Dodatkowo mają minimum 2. udokumentowane próby leczenia profilaktycznego migreny przewlekłej lekami o różnym działaniu (topiramatem, kwasem walproinowym lub jego pochodne, amitryptyliną) lub przeciwwskazania do stosowania lub brak tolerancji zgodnie z ChPL lub nieskuteczność (definiowane jest jako zmniejszenie liczby dni z bólem głowy w miesiącu o mniej niż 50% względem wartości sprzed rozpoczęcia leczenia).

Dowody naukowe

Odnaleziono randomizowane, podwójnie zaślepienie badanie 3 fazy, prowadzone w populacji pacjentów z migreną przewlekłą, porównujące pacjentów otrzymujących ATO w dawce 60 mg, raz dziennie lub ATO w dawce 30 mg, dwa razy dziennie, względem placebo (badanie RCT PROGRESS), a także 2 przeglądy systematyczne z metaanalizą: Ladhvani 2025 oraz Hou 2024 oraz 3 badania RWE: Russo 2025, Vernieri 2025, Giant 2025.

W badaniu PROGRESS wykluczono pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na powyżej 4 leki profilaktyczne. Odsetek pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na co najmniej dwa wcześniejsze leczenia profilaktyczne wyniósł 38% (brak publikacji raportującej wyniki dot. tej podgrupy). Zgodnie z informacjami przedstawionymi w kanadyjskiej rekomendacji CDA 2024, wyniki w podgrupie pacjentów, u których nie zaobserwowano korzyści z leczenia co najmniej dwoma lekami profilaktycznymi o różnym mechanizmie działania, pozostają spójne we wszystkich kluczowych punktach końcowych z wynikami dla populacji ogólnej badania PROGRESS.

W populacji ogólnej badania, tj. u pacjentów z migreną przewlekłą, raportowano IS i istotną klinicznie większą redukcję liczby dni z migreną w miesiącu względem wartości początkowej w grupie leczonych ATO dawkowanym 30 mg dwa razy dziennie oraz ATO 60 mg raz dziennie w porównaniu z grupą placebo. Średnia zmiana liczby dni z migreną względem wartości początkowej (obliczona metodą średniej najmniejszych kwadratów, SE) wyniosła -5,1 dnia w grupie placebo oraz -7,5 i -6,9 dnia odpowiednio w grupie ATO 30 mg x 2 dz. i ATO 60mg x 1 dz.

W okresie 13-16 tygodni leczenia średnia zmiana liczby dni z migreną względem wartości początkowej (19,2 dnia) wyniosła -10,9 dnia (95%CI: -9,0; -8,0) w populacji pacjentów bez podziału na dawkowanie. Ta redukcja utrzymywała się konsekwentnie przez 48 tyg.

Badania RWE potwierdzają wyniki uzyskane w badaniu PROGRESS. W badaniach RWE również odnotowano IS poprawę (ATO vs PLC) w zakresie liczby dni z migreną w miesiącu i liczby dni z bólem głowy w miesiącu.

Do najczęstszych zdarzeń niepożądanych stosowania ATO należą: zaparcia, zmęczenie oraz nudności.

Gepanty (w tym atogepant) są wskazywane jako leczenie pierwszego wyboru w profilaktyce migreny przewlekłej zarówno w polskich wytycznych PTN i PTBB 2024, jak i w wytycznych zagranicznych (CHS 2025, NICE 2024, AHS 2024) i międzynarodowych (IHS 2024).

Problem ekonomiczny

Koszt dla płatnika publicznego 1 opakowania Aquipta (28 tabl.) w dawce 10 mg ATO albo 60 mg ATO wynosi 1369,63 zł. Z uwagi na dalece nieprecyzyjne szacunki dotyczące liczebności populacji, roczny całkowity koszt dla płatnika

publicznego mógłby wynieść od ok. 712 tys. zł (wariant podstawowy w populacji 100 pacjentów) do ponad 14 mln zł (wariant podstawowy w populacji 2000 pacjentów), a nawet niespełna 36 mln zł (wariant dodatkowy w populacji 2000 pacjentów).

Główne argumenty decyzji:

- *oporność na leczenie nie została zdefiniowana, w związku z tym istnieje ryzyko, że z importu docelowego będą korzystać pacjenci, którzy mogliby korzystać z leczenia w ramach refundacji;*
- *aktualnie w przypadku migreny refundowany jest relatywnie szeroki zakres terapii;*
- *potencjalnie relatywnie wysokie koszty dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: DRe.4211.1.2025 „Aquipta (atogepant) we wskazaniu: leczenie osób dorosłych z lekooporną migreną przewlekłą”, data ukończenia: 16 października 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 193/2025 z dnia 20 października 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne trastuzumab i pertuzumab (terapia skojarzona) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne trastuzumab i pertuzumab (terapia skojarzona), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakiem dróg żółciowych, z nadekspresją receptora HER2 w komórkach raka lub amplifikacją genu HER2, po udokumentowanej nieskuteczności, zastosowanej w zaawansowanym stadium, chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 lub kolejne linie leczenia).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leków zawierających substancje czynne trastuzumab i pertuzumab w ww. wskazaniu pozarejestacyjnym. Rada Przejrzystości dotychczas nie wydawała opinii w zakresie problematyki ujętej w ww. zleceniu.

Rak dróg żółciowych (cholangiocarcinoma, CCA) – najczęściej gruczolakorak (95%) - wywodzi się z nabłonka błony śluzowej dróg żółciowych. CCA stanowi ok. 3% wszystkich nowotworów przewodu pokarmowego. Większość chorych w chwili rozpoznania CCA nie kwalifikuje się do resekcji; odsetek 5-letnich przeżyć wynosi 5–10%. Pojawienie się żółtaczki i świądu świadczy zwykle o znacznym zaawansowaniu raka; u większości chorych na tym etapie jest już nieresekcyjny, a czas przeżycia nie przekracza 12 miesięcy od chwili rozpoznania.

Dowody naukowe

Oceniane wskazanie obejmuje drugą linię leczenia systemowego zaawansowanego CCA po zastosowaniu cisplatyny i gemcytabiny (w ramach

katalogu chemioterapii) lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (w programie lekowym B.5) jako zalecanych standardowych terapii pierwszej linii. W tej grupie pacjentów wytyczne towarzystw naukowych zalecają jako preferowany schemat chemioterapii FOLFOX (kwas folinowy, fluorouracyl, oksaliplatyna); zastosowanie mają też inne schematy, tj. FOLFIRI (kwas folinowy, fluorouracyl, irynotekan), irynotekan liposomalny + fluorouracyl + leukoworyna, regorafenib (Krzakowski 2025, ESMO 2023 i 2024, EASL 2025, NCCN 2025 oraz Wang 2024). Wytyczne wskazują, że terapia jest dobierana na podstawie indywidualnych cech pacjenta, jak i nowotworu (diagnostyka molekularna w kierunku terapii celowanych).

Oceniana technologia została bezpośrednio wymieniona w trzech dokumentach: polskich „Wytycznych postępowania diagnostyczno-terapeutycznego w nowotworach dróg żółciowych” (Krzakowski 2025), amerykańskich NCCN 2025 oraz chińskich Wang 2024.

Odnaleziono jedno otwarte, fazy IIa, badanie koszykowe MyPathway, oceniające skuteczność uznanych terapii celowanych u pacjentów z zaawansowanymi nowotworami litymi, u których stwierdzono potencjalnie możliwe do leczenia zmiany genetyczne lub molekularne (HER2, BRAF, EGFR, ścieżki Hedgehog). W publikacji Javle 2021 przedstawiono wyniki dla kohorty pacjentów z HER2+ CCA (n=39). Wszystkim 39 pacjentom podawano pertuzumab z trastuzumabem przez średnio 3,5 miesiąca (IQR: 0,7–7,6), średnio sześć cykli leczenia (IQR: 2–12). W zakresie punktów końcowych w ocenie skuteczności wykazano: obiektywny wskaźnik odpowiedzi (ORR) 23% (95%CI: 11-39), przy medianie przeżycia bez progresji choroby (PFS) 4,0 miesiące (95%CI: 1,8-5,7) oraz medianie całkowitego przeżycia (OS) 10,9 miesiąca (95%CI: 5,2-15,6).

U 36 na 39 (92%) pacjentów wystąpiły zdarzenia niepożądane (AE) związane z leczeniem, najczęściej biegunka n=13 (33%), podwyższony poziom AlAT, n=12 (31%) i podwyższony poziom AspAT, n=12 (31%). Nie odnotowano poważnych AE związanych z leczeniem. Żaden pacjent nie wycofał się z badania ani nie zmarł z powodu AE związanych z leczeniem.

Badanie MyPathway było ograniczone przede wszystkim ze względu na: niewielką liczbę pacjentów w analizach podgrup, brak randomizacji lub grupy kontrolnej oraz zastosowanie niezaślepionych ocen badaczy w celu ustalenia odpowiedzi na leczenie.

Problem ekonomiczny:

Oszacowana orientacyjna liczba pacjentów kwalifikujących się do leczenia ocenianą technologią medyczną wynosi 30-70 osób rocznie. Wobec tego roczne wydatki płatnika (uwzględniające ceny z obwieszczenia) na refundację terapii skojarzonej trastuzumab + pertuzumab wyniosą od 8,7 mln PLN dla 30 pacjentów do 20,2 mln PLN dla 70 pacjentów.

Główne argumenty decyzji:

- *Dowody pochodzące tylko z jednego otwartego badania klinicznego bez grupy kontrolnej;*
- *Dostępność innych tańszych technologii;*
- *Potencjalnie wysokie wydatki płatnika publicznego.*

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), z uwzględnieniem opracowania: DPL.422.1.1.2025 „Trastuzumab i Pertuzumab we wskazaniu pozarejestracyjnym: leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem dróg żółciowych, z nadekspresją receptora HER2 w komórkach raka lub amplifikacją genu HER2, po udokumentowanej nieskuteczności, zastosowanej w zaawansowanym stadium, chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 lub kolejne linie leczenia).” Data ukończenia: 15 października 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 194/2025 z dnia 20 października 2025 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne dabrafenib i trametynib (terapia skojarzona) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne dabrafenib i trametynib (terapia skojarzona), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem dróg żółciowych, z obecną mutacją V600E w genie BRAF, po udokumentowanej nieskuteczności zastosowanej w zaawansowanym stadium chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 linia leczenia).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rada Przejrzystości dotychczas nie wydawała opinii w zakresie ww. wskazania.

Rak dróg żółciowych stanowi około 3% wszystkich nowotworów przewodu pokarmowego i około 10% pierwotnych nowotworów wątroby. Chorobowość wynosi 0,01–0,46%, a zapadalność waha się od 1–2/100 000 w USA i UK do 50–113/100 000 w krajach Południowowschodniej Azji (jest większy z uwagi na infekcje pasożytnicze wątroby, m.in. fascjolozę). Choroba występuje częściej u mężczyzn (1,3:1).

Rak pęcherzyka żółciowego stanowi 80-95% raków dróg żółciowych. Chorują na niego najczęściej osoby > 60 roku życia, kobiety 3-4 x częściej niż mężczyźni. W Polsce zachorowalność wynosi ok. 2/100 000/rok.

Rak brodawki Vatera jest względnie rzadkim nowotworem. Występuje z częstością 0,57 na 100 000 osób na rok, stanowiąc około 2% wszystkich raków przewodu pokarmowego i 20% raków zewnątrzwątrobowych dróg żółciowych.

Aktualnie w ramach leczenia raka dróg żółciowych w Polsce refundowane są terapie za pomocą następujących substancji:

- katalog chemioterapii: kapecytabina, karboplatyna, cisplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, doksorubicyna, etopozyd, fluorouracyl, gemcytabina, ifosfamid, irynotekan, winkrystyna, winorelbina, temozolomid;
- katalog apteczny: doksorubicyna;
- program lekowy B.5: durwalumab (w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną) – w ramach 1 linii leczenia systemowego.

Zgodnie z treścią wytycznych, aktualnie nie ma standardowego zalecanego leczenia w tej grupie pacjentów. Zgodnie z większością dokumentów, standardowym postępowaniem 2 linii leczenia systemowego zaawansowanego RDŻ jest schemat chemioterapii FOLFOX. Zastosowanie znajdują również inne schematy chemioterapii (FOLFIRI, irynotekan liposomalny + fluorouracyl + leukoworyna, regorafenib).

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono 1 badanie koszykowe ROAR, którego głównym celem było określenie wskaźnika ORR terapii dabrafenibem w połączeniu z trametynibem u pacjentów z rzadkimi nowotworami litymi z mutacją BRAF V600E lub nowotworami hematologicznymi. Drugorzędowymi celami badania było określenie DoR, PFS, OS i bezpieczeństwa stosowania dabrafenibu w skojarzeniu z trametynibem.

W badaniu przedstawiono oddzielne wyniki dla kohorty pacjentów z RDŻ. Włączono do niej 43 pacjentów, natomiast 34 pacjentów ukończyło badanie. Status mutacji BRAF V600E potwierdzono u 91% pacjentów.

- Czas trwania odpowiedzi (95%CI) [ocena badacza] = 8,9 miesiąca (5,6; 13,7);
- Czas trwania odpowiedzi (95%CI) [niezależna ocena radiologiczna] = 10,4 miesiąca (4,6; 14,9);
- Mediana PFS (95%CI) [ocena badacza] = 9,0 (5,5; 9,4);
- Mediana PFS (95%CI) [niezależna ocena radiologiczna] = 7,5 (5,4; 12,9);
- Mediana OS (95%CI) = 13,5 miesiąca (10,4; 17,6).

W 7 analizowanych dokumentach wytycznych klinicznych (polskie Krzakowski 2025, europejskie ESMO 2023 i 2024, EASL 2025, amerykańskie NCCN 2025, brytyjskie BSG 2024 oraz chińskie Wang 2024) wskazano, że standardowym postępowaniem 2 linii leczenia systemowego zaawansowanego RDŻ jest schemat chemioterapii FOLFOX. Zastosowanie znajdują również inne schematy chemioterapii (FOLFIRI, irynotekan liposomalny + fluorouracyl + leukoworyna, regorafenib).

We wszystkich dokumentach wskazano, iż w miarę możliwości należy przeprowadzić badania molekularne w celu wykrycia potencjalnych celów terapii celowanej. Leki ukierunkowane na cele molekularne pozostają opcją w przypadku wyczerpania dostępnego leczenia, ale decyzja odnośnie

do ich wykorzystania powinna być indywidualna i uzależniona od dostępności oraz bilansu potencjalnych korzyści i toksyczności.

Oceniana technologia została bezpośrednio wymieniona w 3 dokumentach: ESMO 2023, NCCN 2025 i Wang 2024.

Główne argumenty decyzji

- *Ograniczona jakość i wiarygodność dowodów klinicznych z uwagi na brak randomizowanego porównania z leczeniem standardowym*
- *Wyniki dotyczące odpowiedzi na leczenie (ORR), przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS) i przeżycia całkowitego (OS) mają charakter eksploracyjny i obarczone są dużą niepewnością;*
- *Brak danych dotyczących rzeczywistej efektywności klinicznej;*
- *Wysokie wydatki płatnika publicznego.*

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), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: DPL.422.1.2.2025 „Dabrafenib + Trametynib we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem dróg żółciowych, z obecną mutacją V600E w genie BRAF, po udokumentowanej nieskuteczności zastosowanej w zaawansowanym stadium chemioterapii z udziałem cisplatyny i gemcytabiny lub cisplatyny i gemcytabiny w skojarzeniu z durwalumabem (2 linia leczenia)”, data ukończenia: 15 października 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 195/2025 z dnia 20 października 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
profilaktyki chorób zakaźnych w Gminie Nowiny na lata 2026-2030”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych w Gminie Nowiny na lata 2026-2030”, pod warunkiem uwzględniania uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem zdrowotny/epidemiologia

Krztusiec pozostaje istotnym problemem zdrowotnym w Polsce i województwie świętokrzyskim. Zgodnie z danymi Narodowego Instytutu Zdrowia Publicznego PZH – PIB, w Polsce w 2024 roku zarejestrowano ponad 32 400 przypadków choroby (86,3/100 tys. mieszkańców), co oznacza ponad 40-krotny wzrost w stosunku do roku 2023 (922 przypadki). W województwie świętokrzyskim zapadalność wzrosła aż 70-krotnie, a 23% przypadków wymagało hospitalizacji. Jednocześnie wyszczepienie dorosłych w regionie pozostaje skrajnie niskie (0,04% populacji w 2023 r.). Program odnosi się do zaleceń światowych i krajowych (WHO, ECDC, PSO 2025) oraz wpisuje się w kierunki określone w Mapach Potrzeb Zdrowotnych dla województwa świętokrzyskiego w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych.

Cele i mierniki efektywności

Celem głównym programu jest podniesienie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych. Cele szczegółowe obejmują: 1) zmniejszenie liczby zachorowań na błonicę, tężec i krztusiec o co najmniej 5% w okresie realizacji programu, 2) zwiększenie odsetka osób zaszczepionych przeciwko błonicy, tężcowi i krztuścowi o co najmniej 7%. Mierniki efektywności zostały sformułowane prawidłowo, jednak należy uzasadnić przyjęte wartości docelowe oraz doprecyzować metody gromadzenia danych.

Monitorowanie i ewaluacja

Założone wskaźniki monitorowania (liczba zgłoszeń, liczba zaszczepionych, liczba uczestników działań edukacyjnych, poziom wiedzy w testach) zostały określone prawidłowo. Ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu danych przed i po realizacji interwencji oraz uwzględniać poziom satysfakcji uczestników. Rada rekomenduje rozszerzenie testu wiedzy o pytania dotyczące bezpieczeństwa szczepień i niepożądanych odczynów poszczepiennych (NOP).

Budżet programu

Całkowity koszt realizacji programu wynosi 128 000 zł, finansowany z budżetu Gminy Nowiny z możliwością uzyskania dofinansowania z NFZ (do 40% kosztów). Struktura kosztów jednostkowych (120 zł szczepionka, 150 zł wizyta kwalifikacyjna, 50 zł podanie szczepionki) jest adekwatna, jednak należy uwzględnić wartościowe oszacowanie kosztów działań edukacyjnych i ewaluacyjnych, nawet jeśli realizowane będą przez pracowników urzędu w ramach obowiązków służbowych. Program przewiduje objęcie szczepieniami 400 osób (ok. 7% populacji docelowej, tj. mieszkańców gminy w wieku ≥ 28 lat niezaszczepionych przeciw krztuścowi w ostatnich 10 latach).

Uwagi Rady:

- Należy uzasadnić przyjęte wartości docelowe oraz doprecyzować metody gromadzenia danych;*
- Rada rekomenduje rozszerzenie testu wiedzy o pytania dotyczące bezpieczeństwa szczepień i niepożądanych odczynów poszczepiennych (NOP);*
- Należy uwzględnić wartościowe oszacowanie kosztów działań edukacyjnych i ewaluacyjnych, nawet jeśli realizowane będą przez pracowników urzędu w ramach obowiązków służbowych.*

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.431.17.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych w Gminie Nowiny na lata 2026-2030”; data ukończenia: październik 2025 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki krztuśca z wykorzystaniem skojarzonej szczepionki przeciw błonicy, tężcowi i krztuścowi, z obniżoną dawką antygenów błonicy i krztuśca (Tdap) – wspólne podstawy oceny” z lutego 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 196/2025 z dnia 20 października 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Malczyce na lata
2026-2029”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Malczyce na lata 2026-2029”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej zakłada przeprowadzenie wizyty fizjoterapeutycznej, indywidualnego planu rehabilitacji oraz edukacji. Populację docelową stanowić będą dorośli mieszkańcy gminy Malczyce z rozpoznaniem choroby przewlekłej układu kostno-stawowego, zapalnej choroby układu ruchu, urazu lub choroby układu nerwowego. Program ma być realizowany w gminie Malczyce w latach 2026-2029, a koszt całkowity jego realizacji został oszacowany na kwotę 501 173,64 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków własnych gminy Malczyce. Realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu ofert.

Problem zdrowotny

Wnioskodawca odniósł się do sytuacji epidemiologicznej, przedstawiając dane światowe, ogólnopolskie, regionalne oraz lokalne. Na podstawie danych NFZ wskazano, że w Polsce w 2023 roku ok. 25% dorosłych miało zdiagnozowane choroby układu kostno-stawowego, co stanowi istotny wzrost w porównaniu z poprzednią dekadą. W 2023 roku w powiecie średzkim współczynnik liczby świadczeń rehabilitacji ambulatoryjnej wyniósł 3 404/100 tys. mieszkańców (dane Map Potrzeb Zdrowotnych), liczba rehabilitacyjnych porad lekarskich – 799, wizyt fizjoterapeutycznych - 2 443. W ciągu 2023 r. w wymienionym powiecie wykonano 167,2 tys. zabiegów fizjoterapeutycznych. Wnioskodawca podkreślił, że na terenie gminy Malczyce żaden świadczeniodawca nie posiada umowy z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Cele i mierniki efektywności

Głównym celem projektu jest „zmniejszenie dolegliwości bólowych u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem chorób układu ruchu, urazów lub chorób układu nerwowego, poprzez kompleksowe działania

rehabilitacyjne". Zaplanowana ocena stanu funkcjonalnego przy wykorzystaniu skali VAS przed i po realizacji działań rehabilitacyjnych pozwoli na ocenę efektywności działań fizjoterapeutycznych w programie. Dobrze zaplanowane działania z zakresu rehabilitacji wskazują, że cel główny możliwy jest do osiągnięcia. Wnioskodawca przedstawił jeden cel szczegółowy - „odsetek osób, u których odnotowano wysoki poziom wiedzy (minimum 60% poprawnych odpowiedzi) w post - teście względem pre - testu”. Do projektu załączono przykładowy test.

Zaplanowano prawidłowo dwa mierniki efektywności (1) „odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami mierzony w skali VAS w pierwszym (VAS^1) oraz ostatnim dniu (VAS^0) otrzymywania świadczeń w programie ($VAS^0 < VAS^1$) o co najmniej 14 mm (minimalna istotna klinicznie różnica)” (miernik odnosi się do celu głównego), (2) „odsetek osób, u których odnotowano wysoki poziom wiedzy (minimum 60% poprawnych odpowiedzi) w post - teście względem pre - testu” (miernik odnosi się do celu szczegółowego).

Populacja docelowa

Do programu zostaną włączone osoby dorosłe (18 lat i więcej), z rozpoznaniem choroby przewlekłej układu kostno-stawowego, zapalnej choroby układu ruchu, urazu lub choroby układu nerwowego, zamieszkujące i zameldowane na terenie gminy Malczyce. Na podstawie danych epidemiologicznych wnioskodawca oszacował populację docelową na poziomie ok. 385 pacjentów rocznie. Jednak ze względu na ograniczenia finansowe gmina planuje objąć PPZ ok. 300 pacjentów rocznie (ok. 1200 osób w czasie trwania 4-letniego programu). W programie nie będą mogły brać udziału osoby korzystające ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez gminę Malczyce, NFZ, ZUS lub KRUS z powodu ww. jednostek chorobowych w okresie do 4 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu w przypadku pacjentów z przewlekłą chorobą układu kostno-stawowego lub układu nerwowego lub do 2 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu w przypadku pacjentów po urazie (na podstawie oświadczenia uczestnika programu).

Projekt programu

W projekcie zaplanowano kompleksową rehabilitację uwzględniającą wizytę fizjoterapeutyczną, indywidualny plan rehabilitacyjny oraz działania edukacyjne. W ramach wizyty lekarskiej przeprowadzona zostanie kwalifikacja uczestnika do programu. Przy kwalifikacji uczestnika do programu zaplanowany zostanie indywidualny plan rehabilitacyjny, który będzie obejmował średnio 3 zabiegi dziennie na cały cykl rehabilitacyjny trwający 10 dni (w projekcie wnioskodawca przedstawił katalog zabiegów z zakresu kinezyterapii, fizykoterapii, laseroterapii oraz krioterapię miejscową, Sollux [leczenie światłem – promieniowaniem widzialnym i podczerwonym], masaż i hydroterapię). Wszystkie zaplanowane

przez wnioskodawcę zabiegi znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia (Dz.U. 2021 poz. 265 z późn. zm). W projekcie zaplanowano przeprowadzenie działań edukacyjnych przez lekarza, pielęgniarkę, fizjoterapeutę, dietetyka lub edukatora i przekazywanie uczestnikom materiałów edukacyjnych. Przed przystąpieniem do działań edukacyjnych, uczestnik programu wypełniać będzie pre-test, a po zakończeniu udziału w programie będzie zobowiązany do wypełnienia post-testu. Na zakończenie udziału w programie uczestnik wypełnia ankietę satysfakcji.

Wnioskodawca przedstawił informacje nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych oraz zaplanował działania informacyjne, które mają być realizowane przez realizatora i gminę Malczyce.

Monitorowanie i ewaluacja przebiegu realizacji programu została prawidłowa zaplanowana.

Wnioskodawca przedstawił koszty jednostkowe oraz koszt realizacji programu w odniesieniu do pierwszego roku jego realizacji oraz szacunkowe koszty w następnych latach, zindeksowane o koszty inflacji. Koszt całkowity programu oszacowano na 501 173,64 zł. Program ma zostać sfinansowany w całości ze środków gminy Malczyce. Wnioskodawca bierze pod uwagę możliwość starania się o dofinansowanie działań realizowanych w programie przez Narodowy Fundusz Zdrowia, Dolnośląski Urząd Wojewódzki oraz Urząd Marszałkowski Województwa Dolnośląskiego.

Uwagi Rady:

- korekty wymaga test wiedzy odnośnie do zakresu tematycznego zajęć edukacyjnych;
- powinny być podane źródła (rekomendacje eksperta, doświadczenia innych jednostek samorządu terytorialnego w realizacji podobnych programów polityki zdrowotnej) dla uzasadnienia wartości docelowych celu głównego i szczegółowego.

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.431.16.2025 „Program Polityki Zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Malczyce na lata 2026-2029” realizowany przez: Gminę Malczyce, Warszawa, październik 2025 oraz aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 197/2025 z dnia 20 października 2025 roku
o projekcie programu „Profilaktyka chorób układu ruchu poprzez rehabilitację dla dzieci i młodzieży, aktywnych zawodowo, seniorów z gminy Sulejów”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka chorób układu ruchu poprzez rehabilitację dla dzieci i młodzieży, aktywnych zawodowo, seniorów z gminy Sulejów”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu „Profilaktyka chorób układu ruchu poprzez rehabilitację dla dzieci i młodzieży, aktywnych zawodowo, seniorów z gminy Sulejów” został zaplanowany do realizacji w terminie od stycznia do grudnia 2026 r.

Całkowite planowane koszty zostały określone na kwotę 400 000 zł, z czego koszt roczny oszacowano na kwotę 160 000 zł. Tym samym mamy ewidentną nieścisłość, tj. koszt całkowity różni się od kosztu rocznego. Program ma zostać sfinansowany ze środków własnych miasta Sulejów (oraz ewentualnego dofinansowania). Wnioskodawca wskazał jedynie, że realizacja programu nie będzie powiązana z NFZ.

PPZ skierowany jest do dzieci i młodzieży, osób aktywnych zawodowo oraz seniorów. Bez wskazania warunków kwalifikacji. W uzasadnieniu jest mowa o osobach niepełnosprawnych, ale też o osobach z wadami postawy.

W ramach opisu populacji dzieci i młodzieży wnioskodawca wskazał, że wielkość populacji ogółem wyniesie 1810 osób. W ramach opisu populacji osób aktywnych zawodowo wnioskodawca wskazał, że wielkość populacji ogółem wyniesie 10 000 osób. Odnosząc się do opisu seniorów wnioskodawca wskazał, że wielkość populacji ogółem wynosi 3 800 osób. W związku z brakiem informacji o kryteriach włączenia dot. wieku oraz sposobu zdefiniowania „osób aktywnych zawodowo” weryfikacja wskazanej przez wnioskodawcę liczebności „populacji ogólnej” nie jest możliwa. Natomiast wskazano, że przewidywana populacja w czasie trwania rocznego programu to 50 osób w przypadku dzieci i młodzieży, 70 osób w przypadku osób aktywnych zawodowo oraz 80 osób w przypadku seniorów. Głównym założeniem projektu programu jest zwiększenie możliwości dostępu do profesjonalnych zabiegów rehabilitacyjnych, wyrobie u uczestników

nawyku codziennej aktywności fizycznej. Projekt ma na celu zwiększenie świadomości zdrowotnej oraz poprawa sprawności fizycznej i jakości życia mieszkańców gminy Sulejów poprzez realizację kompleksowych działań z zakresu profilaktyki i rehabilitacji układu ruchu. Projekt zakłada indywidualnie dostosowane zajęcia dla trzech kluczowych grup wiekowych – dzieci i młodzieży, osób aktywnych zawodowo oraz seniorów, w celu przeciwdziałania wadom postawy, schorzeniom kręgosłupa, zwyrodnieniom stawów i ograniczeniom funkcjonalnym wynikającym z trybu życia lub wieku.

Program zakłada wieloetapowe działania profilaktyczne i diagnostyczne, mające na celu m.in. edukację rodziców, nauczycieli i samych uczniów w zakresie utrzymania prawidłowej postawy. Należy zaznaczyć, że wnioskodawca przedstawił bardzo zdawkowy opis działań edukacyjnych.

Projekt programu dotyczy bardzo rozległego, a zarazem istotnego problemu zdrowotnego.

Tymczasem, rehabilitacja stanowi niezbędny element efektywnego procesu terapeutycznego w przypadku wszystkich problemów zdrowotnych prowadzących do ograniczenia sprawności organizmu, utrudniających lub uniemożliwiających normalne funkcjonowanie jednostek.

Zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarobkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym. Rehabilitacja poprzez wpływ na: docelowe funkcje i struktury organizmu, działania i uczestnictwo; czynniki środowiskowe i osobiste, przyczynia się do osiągnięcia i utrzymania optymalnego funkcjonowania danej osoby w interakcji z otoczeniem.

Ekspertcy są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Niemniej, warunki realizacji PPZ powinny być zgodne z wymogami zawartymi w Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Uwagi Rady:

- projekt nie zawiera wykazu piśmiennictwa ani referencji bibliograficznych, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego;
- w projekcie nie odniesiono się danych pochodzących z Map Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026;
- cel główny został sformułowany nieprawidłowo, składa się z kilku odrębnych założeń, nie wskazano wartości docelowych, do których należy dążyć;

- *cel szczegółowy został sformułowany nieprawidłowo, składa się z dwóch odrębnych założeń. Nie przedstawiono wartości docelowej, do której należy dążyć;*
- *działania edukacyjne opisane zostały w projekcie zdawkowo;*
- *nie zaplanowano indywidualnego planu rehabilitacji, nie wskazano, ile czasu będzie trwał cykl zabiegów;*
- *nie przedstawiono kryteriów włączenia/wyłączenia do programu;*
- *opis populacji docelowej został przedstawiony w sposób bardzo ogólny;*
- *przedstawiony opis interwencji nie zawiera informacji o ścieżce postępowania z uczestnikiem projektu, nie zakłada przeprowadzenia wizyty kwalifikacyjnej ani planu terapeutycznego dobranego do indywidualnych potrzeb uczestników;*
- *projekt nie zawiera także informacji o zakresie i rodzaju działań fizjoterapeutycznych, które miałyby być realizowane w programie;*
- *w projekcie nie zaplanowano pre- i post-testów wiedzy dla żadnej ze wskazanych populacji;*
- *w związku z przedstawionym przez wnioskodawcę zdawkowym opisem działań fizjoterapeutycznych, trudno jest określić, czy planowane interwencje fizykoterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej;*
- *na terenie miasta Sulejów 1 świadczeniodawca posiada 1 umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej; nie wskazano, czy w miejscu realizacji programu ograniczony bądź niemożliwy jest dostęp do tego rodzaju świadczenia;*
- *sposób zakończenia udziału w programie dla trzech populacji docelowych został opisany w sposób bardzo ogólny;*
- *z treści projektu nie wynika w sposób jednoznaczny, czy realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert (co jest zgodne z zapisami ustawowymi);*
- *wnioskodawca nie zaplanował w sposób prawidłowy oceny jakości świadczeń w programie (tj. anonimowej ankiety satysfakcji przeznaczanej dla każdej grupy odbiorców programu);*
- *w treści projektu zdawkowo wskazano koszty jednostkowe oraz koszty całkowite PPZ;*
- *nie doprecyzowano źródła i rodzaju ew. dofinansowania projektu;*
- *ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu ze stanem po jego zakończeniu, co nie zostało uwzględnione w projekcie.*

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.431.15.2025 „Profilaktyka chorób układu ruchu poprzez rehabilitację dla dzieci i młodzieży, aktywnych zawodowo, seniorów” realizowany przez: Miasto Sulejów, Warszawa, październik 2025 oraz aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.