



DOR.401.9.2025.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 49/2025
w dniu 17 listopada 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 09:58.

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

1. Robert Bryzek
2. Andrzej Dąbrowski
3. Małgorzata Dziedziak
4. Katarzyna Galas
5. Roman Junik
6. Marcin Kołakowski
7. Marcin Lipowski
8. Ewa Obuchowicz
9. Tomasz Pasierski
10. Zbigniew Siudak

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 zakwalifikowania procedury programowania wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu oraz monitorowania pacjentów ze wszczepionym wewnątrzczaszkowym neurostymulatorem mózgu jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie opinii w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Hemlibra (emicizumab) do PPZ „Narodowy Program Leczenia chorych na Hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora.
4. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej anakinra we wskazaniu pozarejestacyjnym: inne wrodzone zespoły autozapalne: TRAPS; poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1-Zespół Schnitzlera; amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.
5. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej chloroquinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL; porfiria skórna późna.

6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej metforminum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy.
7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej venlafaxinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: bólowa polineuropatia cukrzycowa.
8. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej stiripentolum we wskazaniu pozarejestacyjnym: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt.
9. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej octan abirateronu we wskazaniu pozarejestacyjnym: C.87.b. (leczenie dorosłych pacjentów na hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego z przerzutami, którzy nie spełniają kryteriów wskazania rejestacyjnego wymienionych w załączniku C.XX.a, w połączeniu z deprivacją androgenową jako samodzielne leczenie lub początkowo w skojarzeniu z trwającą przez 18 tyg. chemioterapią opartą o docetaksel).
10. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zgłosił powiązanie branżowe w zakresie tematu Hemlibra, w związku z czym Rada uznała za zasadne wyłączenie go z głosowania w zakresie pkt. 3. 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 podsumował najważniejsze informacje z raportu dot. programowania wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Zbigniew Siudak i Ewa Obuchowicz.

W dalszej dyskusji Rady i doprecyzowaniu treści uchwały głos zabrali Zbigniew Siudak i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Hemlibra (emicizumab) do PPZ.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski, Ewa Obuchowicz i Małgorzata Dziedziak.

Rada wysłuchiwała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny oraz przedstawiciela pacjentów, dopuszczonych do udziału w posiedzeniu, którzy odpowiadali również na pytania.

W dalszej dyskusji głos zabrali: Ewa Obuchowicz, Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski, Marcin Lipowski, Marcin Kołakowski, Katarzyna Galas i Małgorzata Dziedziak.

Projekt opinii Rady przygotował Andrzej Dąbrowski, a w doprecyzowaniu jego treści uczestniczyli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, 2 głosami „przeciw” oraz 1 głosem „wstrzymującym” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Marcin Kołakowski przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej anakinra we wskazaniu pozarejestracyjnym.

W dyskusji Rady udział wzięli Tomasz Pasierski i Marcin Kołakowski.

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

Ad 5. Marcin Lipowski przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej chloroquinum we wskazaniu pozarejestracyjnym.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Roman Junik przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej metforminum we wskazaniu pozarejestracyjnym.

W dyskusji oraz doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Roman Junik, Małgorzata Dziędziak i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Roman Junik przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej venlafaxinum we wskazaniu pozarejestracyjnym.

Prowadzący doprecyzował treść uchwały po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Małgorzata Dziędziak przedstawiła projekt opinii dot. substancji czynnej stiripentolum we wskazaniu pozarejestracyjnym.

Prowadzący doprecyzował treść uchwały po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Marcin Lipowski przedstawił projekt opinii dla substancji czynnej octan abirateronu we wskazaniu pozarejestracyjnym.

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

Ad 10. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:28.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 168/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Procedura programowania wewnątrzczaszkowego
neurostymulatora mózgu oraz monitorowania pacjentów
ze wszczepionym wewnątrzczaszkowym neurostymulatorem mózgu”
jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Procedura programowania wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu oraz monitorowania pacjentów ze wszczepionym wewnątrzczaszkowym neurostymulatorem mózgu” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Głęboka stymulacja mózgu (ang. Deep Brain Stimulation, DBS) obejmuje zabieg chirurgiczny polegający na implantacji cienkich elektrod w wybrane, głęboko położone obszary mózgu, połączonych z generatorem impulsów wszczepionym w ciele pacjenta. Wprowadzenie elektrod realizowane jest z wykorzystaniem ramy stereotaktycznej, co zapewnia precyzyjne umieszczenie zgodnie z zaplanowaną trajektorią. Zasadniczym etapem terapii jest programowanie stymulatora oraz systematyczne monitorowanie pacjenta, które warunkują skuteczność leczenia i pozwalają na optymalne dostosowanie parametrów stymulacji.

W ramach organizacji opieki implantacja stymulatora wykonywana jest przez zespoły neurochirurgiczne, natomiast dalsze postępowanie, obejmujące programowanie urządzenia, kontrolę jego funkcjonowania oraz monitorowanie stanu pacjenta, realizowane jest przez lekarzy specjalistów w dziedzinie neurologii. Choć poszczególne etapy prowadzone są przez różne zespoły specjalistów, w całości tworzą spójny proces terapeutyczny, w którym każdy element jest niezbędny dla osiągnięcia optymalnego efektu terapeutycznego.

Obecnie świadczenie obejmujące wszczepienie wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu jest finansowane ze środków publicznych w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, jako procedura

ICD-9: 02.931 „Implantacja, założenie, umiejscowienie lub przemieszczenie wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu”, której warunki realizacji zostały określone w lp. 1 załącznika nr 4 „Wykaz świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, które są udzielane po spełnieniu dodatkowych warunków ich realizacji, oraz dodatkowe warunki realizacji tych świadczeń”.

Należy zauważyć, że etapy postępowania związane z programowaniem i monitorowaniem pacjenta po wszczepieniu neurostymulatora, stanowiące integralną część terapii głębokiej stymulacji mózgu, nie zostały wyszczególnione w wykazie świadczeń gwarantowanych jako odrębne procedury umożliwiające ich sprawozdawanie i rozliczanie. Utrudnia to wprowadzenie jednolitych standardów postępowania, zapewnienie bezpieczeństwa pacjentów oraz skuteczny nadzór i kontrolę prawidłowości udzielanych świadczeń.

Dowody naukowe

W odniesieniu do świadczeń dotyczących programowania wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu (DBS) oraz monitorowania pacjentów po jego implantacji, nie zidentyfikowano procedur o analogicznym profilu terapeutycznym i sposobie realizacji.

W ramach analizy skuteczności i bezpieczeństwa przeprowadzono dwa przeglądy systematyczne dotyczące oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania następujących interwencji u pacjentów z chorobą Parkinsona, dystonią, drżeniem samoistnym lub drżeniem zamiarowym: programowania wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu oraz monitorowania pacjenta po jego wszczepieniu.

Wyniki w zakresie programowania stymulatora DBS

W ramach przeglądu systematycznego dotyczącego programowania DBS nie odnaleziono badań porównujących programowanie stymulatora DBS w przedziale czasowym od 4 do 10 tygodni po zabiegu u pacjentów z chorobą Parkinsona, dystonią, drżeniem samoistnym lub drżeniem zamiarowym z programowaniem, które odbyło się w innym przedziale czasowym lub jego brakiem. Wynika to z faktu, że programowanie stymulatora jest częścią całościowej opieki nad pacjentem z wszczepionym układem DBS i stanowi jej nieodłączny element.

Wyniki w zakresie monitorowania stymulatora DBS

W ramach przeglądu systematycznego dotyczącego monitorowania pacjenta po wszczepieniu DBS nie odnaleziono badań porównujących monitorowanie pacjenta z wszczepionym stymulatorem DBS po 3, 6 i 12 miesiącach od pierwszego zaprogramowania z monitorowaniem w innych punktach czasowych lub jego brakiem. Może być to związane z tym, że systematyczne monitorowanie oraz dostosowywanie parametrów stymulacji jest niezbędnym elementem procesu implantacji DBS.

Do analizy rekomendacji oraz wytycznych praktyki klinicznej włączono 2 dokumenty z lat 2021-2022 (PTChPiIzR 2022 oraz NA 2021), dotyczące programowania neurostymulatorów DBS oraz monitorowania pacjentów po wszczepieniu wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu.

Odnalezione wytyczne wskazują, że:

- *programowanie – w ramach opieki nad pacjentem z DBS należy uruchomić i zaprogramować stymulator (PTChPiIzR 2022, NA 2021);*
- *monitorowanie – opieka nad pacjentem z wszczepionym neurostymulatorem powinna obejmować systematyczne dostosowywanie parametrów stymulacji i leczenia farmakologicznego do stanu pacjenta (PTChPiIzR 2022), a korekty ustawień urządzenia należy dokonywać wg potrzeb (NA 2021).*

Analiza rozwiązań organizacyjnych wykazała, że we wszystkich analizowanych krajach (8 krajów UE i USA) programowanie i monitorowanie pacjentów z wszczepionym neurostymulatorem mózgu są finansowane ze środków publicznych i stanowią integralną część procesu terapeutycznego.

Problem ekonomiczny

Kwalifikacja świadczenia będzie wiązała się ze kosztami dla płatnika rzędu 3 milionów złotych rocznie.

Główne argumenty decyzji

- *Procedury programowania i systematycznego monitorowania parametrów stymulacji są integralnym elementem terapii z zastosowaniem głębokiej stymulacji mózgu;*
- *Rekomendacje wytycznych postępowania klinicznego oraz pozytywne opinie ekspertów.*

Uwaga Rady:

Rada jest zdania, że technologia powinna być stosowana jedynie u pacjentów z chorobą Parkinsona, dystonią, drżeniem samoistnym lub drżeniem zamiarowym.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DWSGiZS.420.6.2025 „Programowanie wewnątrzczaszkowego neurostymulatora mózgu oraz monitorowanie pacjentów z wszczepionym wewnątrzczaszkowym neurostymulatorem Ocena zasadności wprowadzenia do wykazu świadczeń gwarantowanych jako świadczenia gwarantowanego”, data ukończenia: 12.11.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 201/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Hemlibra
(emicizumab) do programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program
Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata
2024-2028”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie produktu leczniczego:

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

do modułu programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora, pod warunkiem zrównania kosztów terapii profilaktycznej z kosztami terapii profilaktycznej preparatami czynnika VIII.

Problem zdrowotny

Hemofilia A to genetyczna choroba krwi, wynikająca z mutacji genu F8, czego skutkiem jest niedobór lub brak czynnika VIII (FVIII). Choroba objawia się predyspozycją do krwawień samoistnych i pourazowych.

Szacuje się, że częstość występowania hemofilii A wynosi około 1 na 10 000 urodzeń płci męskiej. Według danych NFZ liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10 D.66 (dziedziczny niedobór czynnika VIII) w ostatnich latach w Polsce utrzymywała się na zbliżonym poziomie, z niewielką tendencją wzrostową. W 2024 roku w populacji dorosłych było 1 613 osób z hemofilią A.

Klasyfikuje się trzy główne postacie choroby:

- ciężka: < 1 % FVIII – ryzyko samoistnych krwawień do stawów i mięśni, czasem krwotoków wewnątrzczaszkowych;
- umiarkowana: 1-5 % – krwawienia pourazowe;
- łagodna: 5-40 % – głównie po urazach.

Rokowanie poprawiło się dzięki profilaktyce i terapii substytucyjnej.

Główne objawy hemofilii to samoistne, często bolesne krwawienia do stawów (ok. 70-80 %), mięśni (ok.10-20 %) oraz rzadziej do ośrodkowego układu nerwowego czy narządów. U niemowląt pierwsze, przedłużone krwawienia pojawiają się już po szczepieniach, później typowo krwawienia stawowe (po 1 roku życia).

Objawy skazy krwotocznej ujawniają się zwykle na przełomie 1. i 2. roku życia. Ciężka hemofilia A często ujawnia się w pierwszych miesiącach życia, podczas gdy łagodna lub umiarkowana postać choroby zwykle pojawia się później w dzieciństwie lub okresie dojrzewania, często przypadkowo lub po urazie.

Wśród powikłań długoterminowych wymienia się: artropatię, przewlekły ból, zakażenia wirusowe związane ze stosowaniem składników krwi, guz rzekomy, pogorszenie jakości życia.

Profilaktyka i leczenie

Podstawą leczenia pacjentów hemofilią A jest profilaktyka czynnikowa, polegająca na regularnym podawaniu preparatów czynnika VIII. Prowadzi to do dużego spadku liczby krwawień, zmniejszenia hospitalizacji oraz poprawy funkcji stawów i jakości życia.

W leczeniu na żądanie, stosowanym w ostrych epizodach krwawień – dożylnie podaje się koncentraty czynnika VIII, często z dodatkiem kwasu traneksamowego.

Emicizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, zmodyfikowaną immunoglobuliną G4 (IgG4) o budowie bispecyficznego przeciwciała. Emicizumab stanowi łącznik pomiędzy aktywowanym czynnikiem IX a czynnikiem X, w celu odtworzenia czynności brakującego FVIIIa, który jest niezbędny dla skutecznej hemostazy.

Dowody naukowe

Dane pochodzące z badań HAVEN 3, 4 i 6 oraz dokumentu EMA z 2019 roku wskazują, że roczny wskaźnik wszystkich krwawień u chorych stosujących emicizumab, w ramach profilaktyki, był o kilkadziesiąt procent niższy niż w przypadku profilaktyki prowadzonej z zastosowaniem czynnika VIII. Przedstawiono dowody wskazujące na poprawę jakości życia u pacjentów stosujących emicizumab.

Analizy ekonomiczne

Przy uwzględnieniu ceny leku proponowanej przez Podmiot Odpowiedzialny, szacunkowy koszt terapii profilaktycznej przy zastosowaniu emicizumabu jest kilkukrotnie wyższy od terapii preparatami czynnika VIII.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Według oszacowań Agencji, objęcie refundacją wnioskowanej technologii medycznej w populacji wnioskowanej będzie związane ze

obowiązywania decyzji w wariancie z uwzględnieniem RSS.

Rekomendacje refundacyjne dotyczące ocenianej technologii medycznej

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

Ogółem, trzy spośród odnalezionych ocen dotyczyły hemofilii A z inhibitorami czynnika VIII, siedem ocen dotyczyło ciężkiej hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII, zaś trzy oceny – umiarkowanej hemofilii A z ciężkim fenotypem krwawienia. W przypadku trzech rekomendacji podano, że dotyczą stosowania emicizumabu we wszystkich przedziałach wiekowych, w pozostałych ośmiu nie odniesiono się osobno do tej kwestii.

W rekomendacjach pozytywnych warunkowo zaleca się, aby koszty leczenia emicizumabem nie przekraczały kosztów leczenia profilaktycznego czynnikiem VIII.

Główne argumenty decyzji:

- Dowody naukowe wskazują na równe, jak profilaktyki czynnikiem VIII, korzyści profilaktycznego stosowania emicizumabu u chorych na hemofilię A;
- Na korzyść emicizumabu przemawia sposób jego dawkowania – podskórnie, jeden raz w tygodniu, a nawet jeden raz na 2 lub 4 tygodnie, co stanowi alternatywę dla chorych, którzy nie mogą przyjmować preparatów dożylnie;
- Terapia jest wyjątkowo droga; koszt profilaktycznej terapii emicizumabem jest kilkukrotnie wyższy od kosztu profilaktyki preparatami czynnika VIII.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: DAS.422.2.3.2025 „Ocena zasadności włączenia produktu leczniczego Hemlibra (emicizumab) do modułu programu polityki zdrowotnej »Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028« we wskazaniu: dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora, wraz ze wskazaniem kryteriów włączenia (w przypadku zasadności włączenia)”, data ukończenia: 7 listopada 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem 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: Roche Polska Sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 202/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
anakinra w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną anakinra we wskazaniach pozarejestacyjnych: inne wrodzone zespoły autozapalne: TRAPS; poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL-1-Zespół Schnitzlera; amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W roku 2022 Rada wydała pozytywną opinię co do kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną anakinra we wskazaniach innych niż określone w ChPL, opierając się tak na wcześniejszych rekomendacjach, jak i na dostępnych przeglądach oraz rekomendacjach klinicznych.

Dowody naukowe

Dla poniższych schorzeń Rada Przejrzystości kilka razy opiniowała pozytywne zastosowanie off-label anakinry:

- *TRAPS (Tumor Necrosis Factor Receptor-Associated Periodic Syndrome) to choroba genetyczna, w której dochodzi do okresowych napadów gorączki i innych objawów zapalnych, takich jak bóle stawów, ból brzucha czy wysypki skórne. Jest to związane z mutacjami w genie kodującym receptor TNF. Leczenie anakinrą może pomóc w kontrolowaniu stanów zapalnych wywołanych przez nadmierną aktywność IL-1;*
- *Zespół Schnitzlera to rzadka choroba, która powoduje przewlekłe zapalenie stawów, gorączkę, wysypki skórne i inne objawy zapalne. Związana jest z mutacjami, które prowadzą do nadmiernej produkcji IL-1. W leczeniu zespołu Schnitzlera anakinra może być stosowana do kontrolowania nadmiernej odpowiedzi zapalnej;*
- *Amyloidoza wtórna jest wynikiem przewlekłego stanu zapalnego, który prowadzi do odkładania się białka amyloidu w różnych narządach, takich*

jak nerki czy serce. Może to być konsekwencją długotrwałych procesów autozapalnych. Anakinra, poprzez hamowanie aktywności IL-1, może pomóc zmniejszyć stan zapalny i ograniczyć ryzyko rozwoju amyloidozy.

Ostatnia pozytywna ocena miała miejsce w roku 2022. Od tego czasu nie pojawiły się dane naukowe, które wskazywałyby na konieczność weryfikacji poprzednich opinii Rady. W literaturze naukowej pojawiają się publikacje opisujące pozytywne efekty leczenia z użyciem anakinry we wnioskowanych wskazaniach. Także profil bezpieczeństwa produktu leczniczego jest dobrze poznany, a korzyści terapeutyczne przewyższają potencjalne ryzyka.

Główne argumenty decyzji:

- *Dostępne dowody naukowe, jak i obowiązujące rekomendacje;*
- *Ograniczony dostęp do innych technologii;*
- *Znany profil bezpieczeństwa;*
- *Brak naukowych przesłanek do zmiany wcześniejszych opinii.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 203/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku

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

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną chloroquinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL; porfiria skórna późna.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W dniu 16 stycznia 2023 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 3/2023) dotyczącą kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną chloroquinum w ocenianych wskazaniach. Uwzględniając przedstawione wytyczne praktyki klinicznej, przeglądy systematyczne oraz opisy pojedynczych przypadków, Rada uznała, że refundacja leków zawierających substancję czynną chloroquinum powinna być kontynuowana w przedmiotowych wskazaniach.

Niniejsza opinia stanowi aktualizację poprzednich opracowań pod kątem nowych wytycznych klinicznych oraz dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa wskazanej technologii medycznej.

Dowody naukowe

Od 2023 roku nie zmienił się znacząco stan wiedzy dotyczący zastosowania leku w porfirii skórnej późnej (porphyria cutanea tarda, PCT). W odnalezionym przeglądzie Sarkany 2024 wskazano, że niskie dawki leków chloroquinum lub hydroxychloroquinum (chlorochina 125 mg lub 250 mg dwa razy w tygodniu albo hydroksychlorochina 100 mg lub 200 mg dwa razy w tygodniu) są jedną z dwóch podstawowych metod leczenia PCT (obok flebotomii). Niezwykle istotne jest, aby unikać stosowania tych leków w wyższych dawkach używanych w leczeniu malarii lub tocznia, ponieważ w przypadku PCT może to spowodować potencjalnie niebezpieczne ostre zapalenie wątroby. Chlorochina lub hydroksychlorochina w małych dawkach są skuteczne u większości

pacjentów, prowadząc do remisji klinicznej w ciągu około 6 miesięcy oraz do remisji biochemicznej po około 6–15 miesiącach.

Nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych w odniesieniu do chorób autoimmunizacyjnych innych niż określone w ChPL.

W ramach aktualizacji dowodów naukowych odnalezione zostały przeglądy naukowe i badania kliniczne, z których wynika, że chlorochina lub hydroksychlorochina pozostaje bezpiecznym, dobrze tolerowanym i szeroko stosowanym lekiem immunomodulującym w chorobach autoimmunizacyjnych. Jej zastosowanie rozszerza się poza różne postacie toczenia rumieniowatego i reumatoidalne zapalenie stawów, obejmując również pierwotny zespół Sjögrena, zespół antyfosfolipidowy oraz nawracające poronienia o podłożu immunologicznym.

W toczącym się randomizowanym, otwartym badaniu klinicznym (Bai 2023) prowadzonym w ośmiu ośrodkach w Chinach, oceniana jest skuteczność i bezpieczeństwo baricytynibu (inhibitora kinaz JAK1/JAK2) w połączeniu z hydroksychlorochiną w leczeniu pierwotnego zespołu Sjögrena (pSS). Spodziewane wyniki mają dostarczyć pierwszych dowodów na synergię działania hydroksychlorochiny z terapią celowaną JAK-inhibitorem w pSS.

W przeglądzie systematycznym Dernoncourt 2025 analizowano stosowanie hydroksychlorochiny w nawracających chorobach położniczych o etiologii immunologicznej, z wyłączeniem toczenia układowego. Przede wszystkim skupiono się na położniczym zespole antyfosfolipidowym (APS), w którym standardowe leczenie (heparyna + aspiryna) u 20–30% kobiet nie zapobiega powikłaniom. Hydroksychlorochina ze względu na swoje działanie przeciwzapalne, immunomodulujące i naczynioprotekcyjne, została uznana za obiecujący lek wspomagający. Hydroksychlorochina jest uznawana za lek potencjalnie korzystny w APS (choć brak jeszcze RCT potwierdzających jego skuteczność w tej populacji), natomiast jej rola w innych chorobach położniczych o podłożu autoimmunologicznym (np. przewlekłe zapalenie międzykosmkowe – CIUE, idiopatyczne poronienia nawracające) wymaga dalszych badań.

W badaniu retrospektywnym Wang 2025 analizowano skuteczność leczenia skojarzonego (ASA + hydroksychlorochina + metyloprednizolon + witamina D + wapń + kalcytriol) u kobiet z nawracającymi poronieniami (RSA), które miały dodatnie przeciwciała ANA, ale nie spełniały kryteriów pełnoobjawowej choroby autoimmunizacyjnej. We wnioskach stwierdzono, że hydroksychlorochina może poprawiać wyniki ciąży u kobiet z zaburzeniami autoimmunologicznymi o charakterze subklinicznym, nawet jeśli nie spełniają one pełnych kryteriów choroby układowej.

Aktualizacja dowodów naukowych w zakresie bezpieczeństwa terapii wskazuje także na występowanie rzadkich, ale poważnych działań niepożądanych,

np. kardiotoksyczności po stosowaniu chlorochiny (Pelter 2023) i retinopatii po hydroksychlorochinie (Salameh 2024, Li 2025, Ferreira 2023, Braga 2025).

Uwzględniając przedstawione wyżej okoliczności Rada uznaje, że refundacja leków zawierających substancję czynną chloroquinum powinna być kontynuowana w ocenianych wskazaniach pozarejestacyjnych.

Główne argumenty decyzji

- *Skuteczność i bezpieczeństwo potwierdzone w badaniach naukowych i w praktyce klinicznej;*
- *Marginalny wpływ na wydatki płatnika publicznego;*
- *Brak dowodów uzasadniających zmianę dotychczasowego wnioskovania.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości

nr 204/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku

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

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną metforminum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespoły insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rada Przejrzystości pięciokrotnie - w latach 2013, 2015, 2017, 2020 i w 2023 uznała za zasadną refundację leków zawierających metforminę we wskazaniach, dawkowaniu lub sposobie podawania odmiennych od określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Opinie z lat 2023 i 2020 oraz opinia z 2017 roku były uzasadnione tym, iż skuteczność i bezpieczeństwo stosowania metforminy w zespole insulinooporności w przypadkach innych niż w przebiegu cukrzycy potwierdzają zarówno badania naukowe, jak i wieloletnia praktyka kliniczna oraz opinie powołanych ekspertów. Ponadto zwrócono uwagę na to, iż wzrastająca liczba przypadków insulinooporności powoduje zwiększenie ryzyka dalszych poważnych zaburzeń metabolicznych (otyłości, cukrzycy, nadciśnienia tętniczego lub choroby wieńcowej). Zdaniem ekspertów upoważnia to do wsparcia farmaceutycznego, w którym metformina odgrywa znaczącą rolę.

Analiza publikacji, które pojawiły się po ostatniej opinii Rady być może wskazuje na potrzebę rozważenia zmiany stanowiska Rady.

Dowody naukowe

Wspólne wytyczne EASL-EASD-EASO (European Association for the Study of the Liver-Diabetes-Obesity) 2024 stanowią, że leczenie współistniejących schorzeń, m.in. kardiometabolicznych może poprawić zarówno wyniki MASLD (metabolic dysfunction-associated liver disease), jak i schorzenia współistniejące, w tym otyłość i cukrzycę/insulinooporność, ale w tym celu

proponuje pioglitazon i agonistę GLP-1R. Nie ma obecnie wystarczających dowodów, aby zalecać SGLT-2i lub metforminę jako leczenie MASH (metabolic associated steatohepatitis). Są one jednak bezpieczne w leczeniu MASLD i powinny być stosowane z powodu swoich wskazań w cukrzycy typu 2, niewydolności serca i przewlekłej chorobie nerek. Małe i niekontrolowane badanie kliniczne wykazało zmniejszenie aktywności ALT i zwiększenie wrażliwości na insulinę. Istnieją badania obserwacyjne i opisy przypadków sugerujące, że pacjenci z T2D i włóknieniem lub marskością w przebiegu MASLD podczas leczenia metforminą mogą wydłużyć czas do transplantacji wątroby (ale nie ryzyko dekompensacji) i zmniejszyć ryzyko raka wątroby i pozawątrobowego. Metformina nie powinna być odstawiana u chorych na marskość wątroby, gdyż może to zwiększyć śmiertelność.

W zaleceniach AHA (Ndumele 2023) w pierwszym stadium CKM (Cardiovascular-Kidney-Metabolic Health), kiedy utrzymuje się nieprawidłowa glikemia na czczo (IGT) mimo radykalnej zmiany stylu życia – należy rozważyć metforminę. Peterseim 2024 w swoim artykule przeglądowym nt. zespołu metabolicznego zaleca m.in. leczenie dapagliflozyną plus metforminą celem remisji tego zespołu (NNT = 5), jak również samą metforminą. Gadve 2024 stosując metforminę z doustnym semaglutydem u kobiet z PCOS uzyskał istotnie statystycznie zmniejszenie masy ciała o 7,1 kg, poprawę cyklu miesięcznego i obniżenie HOMA-IR. Semergen 2025 zwraca uwagę, że metformina poza efektem hipoglikemizującym ma również takie działania jak zmniejszenie ryzyka ostrego zespołu wieńcowego, również zgonu z tego powodu u chorych na T2D. Korzystnie wpływa na MASLD schorzenia płuc, prewencję raka i chorób neurodegeneracyjnych.

Główne argumenty decyzji:

- Praktyka kliniczna;
- Wytyczne;
- Zaktualizowane przeglądy piśmiennictwa.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 205/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
venlafaxinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniu pozarejestracyjnym: bólowa polineuropatia cukrzycowa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadność finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych zawierających substancję czynną venlafaxinum we wskazaniu bólowa polineuropatia cukrzycowa było już oceniane przez Radę Przejrzystości w 2013, 2015, 2017, 2020 i w 2023 roku. Wszystkie opinie Rady były pozytywne.

Dowody naukowe

Na potrzeby bieżącej oceny dokonano aktualizacji danych naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa venlafaxinum we wnioskowanym wskazaniu pozarejestracyjnym. Zidentyfikowano nowe amerykańskie wytyczne dotyczące leczenia bólowej polineuropatii cukrzycowej (AAN 2022, potwierdzone [reaffirmed] w 2025) i neuropatii cukrzycowej (ADA 2025) oraz polskie wytyczne leczenia objawowego bólu neuropatycznego w neuropatii cukrzycowej (PTD 2025). W wytycznych AAN oraz ADA autorzy zalecają stosowanie m.in. leków przeciwdepresyjnych z grupy inhibitorów wychwyty zwrotnego serotoniny i noradrenaliny (SNRI, do których należy venlafaxinum). Autorzy wskazali na podobną skuteczność SNRI w leczeniu bólu, do innych leków przeciwbólowych. Wytyczne PTD 2025 rekomendują venlafaxinum w leczeniu pierwszego rzutu bólu neuropatycznego. Odnalezione zalecenia są zbieżne z danymi przedstawionymi w poprzednim raporcie AOTMiT z 2023 roku. Od chwili opracowania poprzedniej oceny nie ukazały się nowe badania dotyczące stosowania venlafaxinum w leczeniu bólowej polineuropatii cukrzycowej.

Znalezione wyniki przeglądów systematycznych zalecają stosowanie tego leku w w/w wskazaniu: Soliman 2025 (pierwsza linia, tylko dorośli), Singh 2025 (jako lek off-label), Brag 2024 (w drugiej linii leczenia), Marlick-Searle 2024, Chandra 2024 (wg zaleceń AAN jako druga linia leczenia), Tesfaye 2023, Preston 2023, Chang 2023.

Wyniki przedstawione w poprzednich opracowaniach analitycznych wskazują, że lek venlafaxinum jest skuteczny i dobrze tolerowany w leczeniu bólu neuropatycznego. Podsumowując, dostępne dowody naukowe uzasadniają kontynuowanie stosowania venlafaxinum w proponowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Główne argumenty decyzji:

- *Praktyka kliniczna;*
- *Wytyczne;*
- *Zaktualizowane przeglądy piśmiennictwa.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 206/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
stiripentolum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną stiripentolum we wskazaniu pozarejestacyjnym: złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt (EIMFS) została wyodrębniona jako jednostka nozologiczna w roku 1995. Należy do grupy wczesnoniemowlęcych encefalopatii padaczkowych o wysoce heterogennych uwarunkowaniach.

Rada Przejrzystości wydała pozytywne opinie: nr 7/2023 z dnia 23 stycznia 2023 roku, nr 43/2020 z dnia 24 lutego 2020 roku i nr 82/2017 z dnia 27 marca 2017 roku, dotyczące refundacji styrypentolu w powyższym wskazaniu.

Nie odnaleziono nowych wytycznych odnoszących się do postępowania w złośliwej ogniskowej migrującej padaczce u niemowląt. Brak wysokiej jakości dowodów wynika z faktu, iż EIMFS jest chorobą ultraradką, wskaźnik zapadalności określono na 0,11/100 000 dzieci (Jara 2021). Dotychczas w literaturze opisano nieco ponad 100 przypadków.

Główne argumenty decyzji

- *W stosunku do poprzednich pozytywnych opinii nie odnaleziono nowych badań naukowych i wytycznych klinicznych wskazujących na konieczność zmiany przez Radę Przejrzystości dotychczasowego wnioskowania;*
- *złośliwa ogniskowa migrująca padaczka niemowląt jest chorobą ultraradką, a styrypentol stanowi jedną z opcji terapeutycznych.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 207/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
octan abirateronu w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną octan abirateronu we wskazaniu pozarejestacyjnym: C.87.b. (leczenie dorosłych pacjentów na hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego z przerzutami, którzy nie spełniają kryteriów wskazania rejestacyjnego wymienionych w załączniku C.XX.a, w połączeniu z deprywacją androgenową jako samodzielne leczenie lub początkowo w skojarzeniu z trwającą przez 18 tyg. chemioterapią opartą o docetaksel).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W dniu 30 stycznia 2023 roku Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (nr 11/2023) dotyczącą refundacji leków zawierających substancję czynną octan abirateronu w ww. wskazaniu pozarejestacyjnym. Jak podkreślono, dane z badania randomizowanego i wytyczne towarzystw naukowych wspierają stosowanie octanu abirateronu u pacjentów z hormonowrażliwym rakiem gruczołu krokowego z przerzutami.

Niniejsza opinia stanowi aktualizację poprzednich opracowań pod kątem nowych wytycznych klinicznych oraz dowodów naukowych na potrzeby oceny skuteczności i bezpieczeństwa wskazanej technologii medycznej.

Dowody naukowe

Aktualne wytyczne ASCO 2023 zalecają u pacjentów z wysokiego ryzyka de novo przerzutowym, niekastracyjnym rakiem prostaty, dodanie octanu abirateronu do terapii deprywacji androgenowej (androgen deprivation therapy, ADT). Dla pacjentów z niskiego ryzyka de novo przerzutowym, niekastracyjnym rakiem prostaty, można rozważyć połączenie ADT z abirateronem. Ponadto, u chorych z hormonowrażliwym, przerzutowym rakiem prostaty zalecany jest schemat: abirateron 1000 mg raz na dobę z prednizonem lub prednizolonem 5 mg na dobę,

aż do progresji choroby. U pacjentów z de novo przerzutowym hormonowrażliwym rakiem prostaty o wysokiej objętości choroby (HVD), którzy otrzymują ADT i docetaksel, należy rozważyć potrójną terapię: abirateron + ADT + docetaksel, zgodnie z badaniem PEACE-1, które wykazało istotne korzyści w zakresie przeżycia całkowitego (OS) oraz czasu do progresji radiologicznej.

Według wytycznych AUA/SUO 2023, octan abirateronu (z prednizonem) w połączeniu z ADT jest standardem leczenia chorych z hormonowrażliwym rakiem prostaty z przerzutami (mHSPC), można go również stosować jako część terapii potrójnej (ADT + docetaksel + abirateron) u wybranych pacjentów z de novo przerzutowym hormonowrażliwym rakiem gruczołu krokowego.

W konsensusie ekspertów (Bryce et al., 2024) abirateron jest wymieniony jako standardowy składnik leczenia skojarzonego z ADT w leczeniu hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego z przerzutami. Autorzy podkreślają również rolę terapii potrójnej — ADT + docetaksel + abirateron (lub inny ARPI) — jako preferowanej opcji w wybranych przypadkach choroby o dużej objętości i dobrym stanie ogólnym pacjenta.

W ramach aktualizacji dowodów naukowych odnaleziono kilka przeglądów systematycznych, z których dwa przytoczono dalej. W przeglądzie Wenzel 2023, 2024 przedstawiono opisy badań nad terapią potrójną (ADT + docetaksel + abirateron/darolutamid) w leczeniu hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego z przerzutami, wskazujące na wydłużenie przeżycia całkowitego (OS) u pacjentów z dużą objętością choroby. W przeglądzie Boegemann 2023, nowe terapie hormonalne (w tym abirateron) w połączeniu z ADT uznano za nowy standard terapeutyczny w leczeniu hormonowrażliwego raka prostaty z przerzutami (mHSPC).

Podsumowując, aktualne wytyczne towarzystw naukowych oraz przeglądy systematyczne wspierają stosowanie octanu abirateronu u pacjentów z hormonowrażliwym rakiem gruczołu krokowego z przerzutami, zarówno w terapii skojarzonej z ADT, jak i w schematach potrójnych (ADT + docetaksel + octan abirateronu).

Uwzględniając przedstawione wyżej okoliczności, Rada uznaje, że refundacja leków zawierających substancję czynną octan abirateronu powinna być kontynuowana w ocenianym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Główne argumenty decyzji:

- Skuteczność i bezpieczeństwo potwierdzone w badaniach naukowych i w praktyce klinicznej;
- Obecność w aktualnych wytycznych towarzystw naukowych;
- Brak dowodów uzasadniających zmianę dotychczasowego wnioskowania.

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).