



DOR.401.10.2025.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 50/2025
w dniu 24 listopada 2025 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Artur Bachta
2. Robert Bryzek
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Katarzyna Galas
5. Maciej Karaszewski
6. Elżbieta Lanc
7. Ewa Obuchowicz
8. Tomasz Pasierski
9. Jacek Rubik
10. Małgorzata Szniłowska

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 świadczenia „84.5021 Podanie autogenicznego osocza bogatopłytkowego lub fibryny bogatopłytkowej” jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia „Oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgA jako wstępne badanie przesiewowe (u osób z normalnym stężeniem całkowitego IgA), oraz przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgG jako drugą linię diagnostyczną (u osób z niskim stężeniem całkowitego IgA)” jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych do 7 roku życia.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Arginine Veyron we wskazaniach:
 - deficyt karbamoilotransferazy ornitynowej (OTC),

- deficyt syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS 1),
 - argininobursztynuria,
 - cytrulinemia typu I,
 - lizynuryczna nietolerancja białka,
 - padaczka (drgawki) pirydoksynozależna.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 5-letnich, mieszkańców Bielska-Białej, na lata 2026-2028”.
 7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Rozszerzenie dostępu do świadczeń zdrowotnych z zakresu urologii dla mieszkanki Wrocławia pn. specjaliści o nietrzymaniu moczu”.
 8. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analitik Agencji omówił raport dot. podania autogenicznego osocza bogato płytkowego lub fibryny bogato płytkowej.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Artur Bachta, Tomasz Pasierski, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Sznitowska i Jacek Rubik.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Artur Bachta i Maciej Karaszewski.

W dalszej dyskusji Rady i doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski i Artur Bachta.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze informacje z raportu w sprawie oznaczenia przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgA oraz IgG.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Ewa Obuchowicz i Małgorzata Sznitowska.

Głos w dyskusji Rady i doprecyzowaniu treści uchwały zabrali: Tomasz Pasierski, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

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

Ad 4. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep.

Projekt stanowiska Rady przedstawił Jacek Rubik.

W dyskusji Rady udział wzięli Tomasz Pasierski i Jacek Rubik.

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

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. produktu leczniczego Arginine Veyron.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka, a głos w dyskusji Rady zabrali: Tomasz Pasierski, Anna Czerniecka-Kubicka i Maciej Karaszewski.

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

Ad 6. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. wad wzroku.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

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

Ad 7. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej dot. rozszerzenia dostępu do świadczeń zdrowotnych z zakresu urologii.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, a projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek.

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

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:58.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 169/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Podanie autogenicznego osocza bogatopłytkowego lub fibryny
bogatopłytkowej” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Podanie autogenicznego osocza bogatopłytkowego lub fibryny bogatopłytkowej” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy aktualizacji rekomendacji Prezesa AOTMiT nr 50/2022 z dnia 31 maja 2022 r. w sprawie kwalifikacji świadczenia pn. 84.5021 „Podanie autogenicznego osocza bogatopłytkowego lub fibryny bogatopłytkowej” jako świadczenia gwarantowanego.

Przedmiotowe wskazania obejmują:

- 1. Zapalenie kości i szpiku (rozpoznanie wg. ICD-10: M86.4, M86.6).*
- 2. Nowotwór niezłośliwy kości i chrząstki stawowej (rozpoznanie wg. ICD-10: D16.4, D16.5).*
- 3. Torbiele okolicy jamy ustnej, niesklasyfikowane gdzie indziej (rozpoznanie wg. ICD-10: K09.0, K09.1, K09.2, K09.9).*
- 4. Choroby miazgi i tkanek okołowierzchołkowych (rozpoznanie wg. ICD-10: K04.5, K04.8).*
- 5. Inne choroby dziąseł i bezzębego wyrostka zębodołowego (rozpoznanie wg. ICD-10: K06.9).*
- 6. Inne zaburzenia zębów i struktur podtrzymujących (rozpoznanie wg. ICD-10: K08.1, K08.2, K08.8, K08.9).*
- 7. Odmrożenie z martwicą tkanki (rozpoznanie wg. ICD-10: T34.0, T34.1).*
- 8. Wybrane wskazania z zakresu ortopedii (rozpoznanie wg. ICD-10: M54, M70.8, T92.8, T93.8).*

Dowody naukowe

Autologiczne preparaty krwiopochodne, takie jak autogeniczne osocze bogatopłytkowe (PRP) i fibryna bogatopłytkowa (PRF) stanowią bogate źródło fizjologicznie aktywowanych osoczowych i płytkowych czynników wzrostu, które wspierają procesy naprawcze i regeneracyjne tkanek.

Należy jednak zwrócić uwagę, że brak jest jednolitych i powszechnie przyjętych standardów postępowania, przygotowania i podania ww. preparatów. W związku z tym, dostępne badania naukowe różnią się między sobą liczbą i częstością podań, objętością preparatu, stężeniem elementów morfologicznych krwi w preparacie, stężeniem czynników wzrostu w preparacie (jeśli jest oznaczane), zastosowaniem substancji pomocniczych w preparacie (antykoagulantów, czynników aktywujących) itp., co znacznie utrudnia porównywanie ich wyników.

Dodatkowo podania PRP lub PRF z zasady nie stanowią samodzielnej metody leczenia, ale leczenie uzupełniające i wspomagające. Łączone są z wieloma innymi interwencjami, począwszy od modyfikacji aktywności fizycznej i właściwych metod higieny i pielęgnacji rany, poprzez fizykoterapię, terapię hiperbaryczną, rehabilitację, leki przeciwbólowe, przeciwzapalne, antybiotyki itp., skończywszy na różnorodnych interwencjach chirurgicznych i protetycznych.

Z powyższych powodów, mimo że przeprowadzone przeglądy systematyczne dostępnych wyników naukowych wskazują na możliwą skuteczność PRP i PRF w przyspieszaniu procesów naprawczych i regeneracyjnych (poprzez zarówno efekt fibrynogeny jak i osteogeny), zmniejszaniu natężenia bólu pourazowego, pozabiegowego, krótkotrwałym zmniejszaniu natężenia bólu zwyrodnieniowego lub związanego z przeciążeniem oraz w poprawie efektów miejscowych prowadzonych zabiegów, to jednak zróżnicowana metodyka i wysoka heterogeniczność badań nie pozwalają na potwierdzenie przewagi tej metody leczenia nad innymi alternatywnymi interwencjami medycznymi.

Wyniki dostępnych przeglądów systematycznych wskazują, że iniekcje autogenicznych PRF i PRP są procedurami potencjalnie bezpiecznymi, choć dowody w zakresie profilu bezpieczeństwa są bardzo ograniczone. Wydaje się, że główne ryzyka procedury związane są ze sposobem przygotowania i techniką podania preparatu i reakcjami nadwrażliwości, co do których nie opracowano jednolitych i powszechnie przyjętych standardów postępowania.

Problem ekonomiczny

Brak jest możliwości wiarygodnego oszacowania populacji i kosztów wprowadzenia świadczenia z powodu braku jednolitych kryteriów kwalifikacji do interwencji oraz standardu i częstości podań w poszczególnych wskazaniach. Istnieje duża niepewność dotycząca potencjalnie znacznego wpływu na budżet płatnika.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wartościowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności wnioskowanej technologii;*
- *Brak jednolitych standardów metody;*
- *Brak finansowania w większości krajów OECD;*
- *Duże obciążenie dla budżetu płatnika.*

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: DMiOSZ.420.2.2025 „Podanie autogenicznego osocza bogatopłytkowego lub fibryny bogatopłytkowej w wybranych wskazaniach – ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego (aktualizacja rekomendacji Prezesa AOTMiT nr 50/2022 z dnia 31 maja 2022 r.), data ukończenia: 19 listopada 2025 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 170/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
dot. oznaczenia przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej
w klasie IgA oraz IgG jako świadczenia gwarantowanego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgA jako wstępne badanie przesiewowe (u osób z prawidłowym stężeniem całkowitego IgA), oraz przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgG jako druga linia diagnostyczna (u osób z niskim stężeniem całkowitego IgA)” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celiakia (ICD-10: K90.0) jest przewlekłą chorobą o podłożu autoimmunologicznym. U osób predysponowanych genetycznie, w wyniku spożywania glutenu, dochodzi do aktywacji procesów autoimmunizacyjnych skutkujących produkcją swoistych przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej (TG2) i deamidowanym peptydom gliadyny (DGP). Autoimmunologiczna reakcja zapalna w jelicie cienkim prowadzi do zaniku kosmków błony śluzowej i uszkodzenia struktury jelita. Celiakia może również przebiegać bez wyraźnych manifestacji, ujawniając się jedynie w postaci nieprawidłowych wyników badań laboratoryjnych.

Diagnostyka celiakii jest wieloetapowa, składa się z badań serologicznych (IgA-TG2 lub w przypadku niskiego stężenia całkowitego IgA w surowicy krwi: IgG-TG2 lub IgG-DGP lub IgG-EMA (przeciwciała przeciwendomyszjalne) oraz badania histologicznego wycinków z dwunastnicy. Nierozpoznana lub nieleczona celiakia może prowadzić do licznych powikłań, obejmujących różne układy i narządy. Obecnie w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS), jako testy refundowane pierwszego wyboru w diagnostyce celiakii dostępne są badania w kierunku przeciwciał przeciwko endomysium (ICD-9 N79) i przeciwciał przeciwko gliadynie (ICD-9 N81; N83). Testy te nie są jednak rekomendowane w aktualnych wytycznych towarzystw naukowych.

Wytyczne kliniczne

Aktualne wytyczne kliniczne (European Society for Study of Coeliac Disease (ESSCD 2025), European Society Paediatric Gastroenterology, Hepatology and Nutrition (ESPGHAN 2020), ESSCD 2019, The National Institute for Health and Care Excellence (NICE 2015), American College of Gastroenterology (ACG 2023) jednoznacznie wskazują, że pierwszym badaniem w diagnostyce celiakii u osób z podejrzeniem choroby (objawy kliniczne lub przedmiotowe) powinno być oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2 w klasie IgA (IgA-TG2) oraz stężenia całkowitego IgA w surowicy krwi. Zalecenie to dotyczy zarówno populacji pediatrycznej (ESPGHAN 2020, ESSCD 2019, NICE 2015, ACG 2023), jak i dorosłych (ESSCD 2025, NICE 2015, ACG 2023). W przypadku stwierdzenia niedoboru przeciwciał IgA, wytyczne zalecają oznaczenie przeciwciał w klasie IgG, odpowiednio: IgG-TG2 lub IgG-DGP (ESSCD 2025, ESSCD 2019, ACG 2023) albo IgG-TG2 lub IgG-DGP lub IgG-EMA (ESPGHAN 2020, NICE 2015).

Zgodnie z wytycznymi praktyki klinicznej wymienione badania (oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2 w klasie IgA i IgG) należy wykonywać u osób z grup podwyższonego ryzyka rozwoju celiakii oraz u pacjentów wymagających monitorowania leczenia celiakii. Badania należy wykonać u:

- osób z objawami klinicznymi wskazującymi na celiakię,
- bezobjawowych krewnych pierwszego stopnia chorych na celiakię,
- pacjentów z cukrzycą typu 1, autoimmunologicznymi chorobami wątroby i tarczycy, osób z trisomią 21 (zespół Downa), zespołem Turnera, zespołem Williamsa, niedoborem IgA i nefropatią IgA oraz chorych z mikroskopowym zapaleniem jelita grubego,
- osób z rozpoznaną celiakią w ramach nadzoru kontroli choroby (celem monitorowania skuteczności diety bezglutenowej).

Oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2, umożliwia wczesne oraz wiarygodne rozpoznanie celiakii u osób z objawami lub czynnikami ryzyka, co pozwala na wdrożenie skutecznej terapii w postaci diety bezglutenowej. Częstotliwość badań serologicznych wykonywanych w ramach monitorowania leczenia powinna być dostosowana do sytuacji klinicznej pacjenta.

Wytyczne ESPGHAN 2020 dotyczące populacji pediatrycznej zalecają by wstępny etap zarówno diagnostyki pacjentów z podejrzeniem celiakii, jak i screeningu bezobjawowych osób z grup ryzyka powinien odbywać się w POZ. Dla populacji dorosłych z rozpoznaną celiakią wytyczne ESSCD 2019 zalecają, aby okresowe badania kontrolne przeprowadzane były przez gastroenterologa lub lekarza posiadającego doświadczenie w prowadzeniu pacjentów z celiakią, podkreślając, że może to być lekarz podstawowej opieki zdrowotnej.

Eksperti zgodnie stwierdzili, iż wnioskowane badania powinny być finansowane i realizowane w ramach AOS we wstępnej diagnostyce celiakii we wnioskowanych wskazaniach. Potwierdzili również zasadność dostępności świadczeń w zakresach określonych w KŚOZ czyli w gastroenterologii, diabetologii i endokrynologii.

Ze względu na zróżnicowaną symptomatologię choroby, w opinii ekspertów zasadne jest rozszerzenie dostępności o inne specjalności, w tym POZ.

Problem ekonomiczny

Wydatki płatnika na monitorowanie pacjentów z rozpoznaniem celiakii wynosiłyby ok. 3 mln zł rocznie. Szacunki te nie uwzględniają jednak pacjentów z podejrzeniem celiakii wymagających diagnostyki (brak danych), co sprawia, że dane te są niedoszacowane, a skala niedoszacowania jest niemożliwa do określenia.

W przypadku wprowadzenia wnioskowanych badań jako badań przesiewowych oraz stosowanych celem monitorowania leczenia dietą bezglutenową u chorych na celiakię, w 1-szym roku badania te należałoby wykonać u ok. 440 tysięcy pacjentów z grup ryzyka wskazanych w KŚOZ, a monitorowanie leczenia celiakii objęłoby ponad 36 tys. osób. W drugim roku badaniom serologicznym w kierunku celiakii zostaliby poddanych ok. 57 tys. pacjentów, natomiast monitorowanie objęłoby ok. 38 tys. osób z rozpoznaną wcześniej celiakią. Przy założeniu że koszt jednego badania anty-TG2 wynosi 94 zł, a oznaczenia stężenia IgA całkowitego – 25 zł, wydatki płatnika wyniosłyby blisko 58 mln zł w pierwszym roku oraz do ok. 11 mln zł w drugim roku. Wysokie koszty początkowe wynikają z założenia przeprowadzenia szerokich badań przesiewowych u wszystkich pacjentów z grup ryzyka.

Diagnostyka celiakii jest obecnie prowadzona w Polsce w ramach świadczeń finansowanych ze środków publicznych. Badania, w tym prawdopodobnie także oznaczenia przeciwciał przeciwko TG2, są realizowane w ramach obecnie obowiązujących świadczeń, jednak ich sprawozdawanie odbywa się z wykorzystaniem innych procedur. Pośrednio wskazuje na to m.in. dostępność tych badań w cennikach polskich szpitali. Dodatkowo, w ramach świadczenia kompleksowej opieki nad pacjentem z cukrzycą, realizowanego w ramach AOS, dzieciom i młodzieży przysługuje raz w roku badanie w kierunku współistniejącej celiakii.

W Anglii, Francji, Portugalii, Australii oraz Chorwacji badania przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2 (TG2) są finansowane ze środków publicznego systemu opieki zdrowotnej.

Główne argumenty decyzji:

- Badanie o wyższej jakości diagnostycznej niż testy obecnie refundowane, zgodne z aktualnymi wytycznymi.*
- Poprawa dostępu do diagnostyki zgodnej z wytycznymi praktyki klinicznej.*
- Badanie w diagnostyce i monitorowaniu pacjentów z celiakią, nie jako przesiew jest finansowane ze środków publicznych w innych krajach.*

- *Kwalifikacja świadczenia jako świadczenia gwarantowanego wpłynie pozytywnie na przejrzystość systemu sprawozdawczego i zgodna jest z założeniem projektu Odwróconej Piramidy Świadczeń.*

Uwagi Rady:

- *Zasadne jest określenie nowych procedur dla badań przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2 w klasach IgA i IgG oraz przypisanie im kodów ICD-9.*
- *Badanie jako refundowane powinno być dostępne nie tylko w ramach AOS, ale także POZ co pozwoli na skrócenie kolejki do specjalisty.*
- *Badanie powinno zastąpić aktualnie refundowane badania w kierunku diagnostyki celiakii (oznaczanie przeciwciał przeciw gliadynie klasy IgG oraz IgA: ICD-9 N81; N83), których wartość diagnostyczna jest niższa.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DOZKiWJ.420.2.2025 „Oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgA jako badanie przesiewowe (u osób z prawidłowym stężeniem IgA); Oznaczenie przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej w klasie IgG jako druga linia diagnostyczna (u osób z niskim stężeniem IgA)”; data ukończenia: 19.11.2025 r



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 171/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów
pediatrycznych do 7 roku życia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep (roztwór doustny, butelka, 125 ml), we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych do 7 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problemem decyzyjnym jest oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych.

Przewlekła choroba nerek (PChN) wpływa na wiele układów, w tym wydzielania wewnętrznego (przemiana wapniowo-fosforanowa, wzrost), krwiotwórczy, odpornościowy oraz sercowo-naczyniowy. U dzieci dochodzi do zaburzeń odżywiania i niedoborów białka z takich powodów jak jadłowstręt, nudności i wymioty w przebiegu mocznicy, a także nieprawidłowe odczuwanie smaku. Szczególnie małe dzieci potrzebują odpowiedniej podaży kalorii w celu zapewnienia wzrostu oraz podaży białka umożliwiającej utrzymanie równowagi azotowej i zachowanie beztłuszczowej masy ciała. Niektórzy chorzy mogą wymagać dodatkowego żywienia przez sondę (zgłębnik nosowo-gardłowy) lub gastrostomię, jeśli odżywianie doustne nie zapewnia osiągnięcia właściwej masy ciała i wzrostu. Ponieważ podczas dializowania dochodzi do utraty wielu witamin, dzieci leczone tą metodą wymagają uzupełniania witamin w diecie, zwłaszcza kwasu foliowego, pierwiastków śladowych i witamin z grupy B.

Renastep to gotowy do użycia, wysokoenergetyczny, produkt płynny, który zawiera białko, węglowodany, tłuszcze, witaminy, minerały i pierwiastki śladowe oraz kwas dokozaheksaenowy (DHA) o niskim poziomie potasu, fosforu, wapnia,

chlorków i witaminy A do stosowania w dietetycznym postępowaniu w chorobach nerek u dzieci w wieku ≥ 3 lat.

Renastep był przedmiotem oceny Agencji w 2022 i 2024 roku. W 2022 r. otrzymał negatywne Stanowisko Rady Przejrzystości (SRP nr 83/2022 z dnia 29 sierpnia 2022 r.) oraz negatywną Rekomendację Prezesa Agencji (REK nr 86/2022 z dnia 21 września 2022 r.) – BiP Agencji: 67/20221 w zakresie wydania zgód na refundację we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych. Jednocześnie, RP oraz Prezes Agencji uznali za zasadne wydawanie zgód na refundację środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep, we wskazaniu: stadium 4 przewlekłej choroby nerek oraz przewlekła niewydolność nerek, oba wskazania u pacjentów pediatrycznych w wieku od 3 do 7 roku życia.

W 2024 roku, Renastep otrzymał pozytywną opinię Rady Przejrzystości (SRP nr 148/2024 z dnia 16.12.2024 r.) oraz pozytywną Rekomendację Prezesa Agencji (REK nr 157/2024 z dnia 19.12.2024 r.) - BiP Agencji 175/2024 2 w zakresie wydania zgód na refundację we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów powyżej 7 roku życia.

Alternatywne technologie medyczne dla produktu Renastep to preparaty Renastart oraz Kindergen. Oba mają skład i wskazanie zbliżone do preparatu Renastep i były sprowadzane w ramach importu docelowego dla zbliżonej populacji. Renastep w odróżnieniu od pozostałych produktów, które dostępne są w postaci proszku do przygotowania roztworu do podawania dojelitowego (Renastart) oraz proszku do przygotowania roztworu do podawania doustnego lub dojelitowego (Kindergen), jest gotowym do użycia, roztworem, wskazanym do stosowania u dzieci z chorobami nerek w wieku ≥ 3 lat i dodatkowo ma dwukrotnie wyższą kaloryczność (Renastep 200 kcal, Renastart 100 kcal, Kindergen 100 kcal/100 ml) oraz dostarcza większą ilość białka, węglowodanów oraz tłuszczu w 100 ml produktu. Jest także bogatszy w kwas linolowy (1000 mg/100 ml), kwas α -linolenowy (150 mg/100 ml) oraz kwasy DHA (40 mg/100 ml) w porównaniu z produktem Renastart (odpowiednio: 746 mg, 60 mg, 23 mg/100 ml), podczas gdy Kindergen nie zawiera w swoim składzie tych komponentów. Stężenie L-karnityny w produkcie Renastep jest porównywalne z preparatem Renastart i dwukrotnie wyższe niż w mieszance Kindergen.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych dowodów dotyczących zastosowania preparatu Renastep w populacji pediatrycznej. We wcześniejszych raportach Agencji powołano się na badanie NCT03602937 „Evaluation of Renastep (Renastep)”, finansowane przez producenta ocenianej technologii. Badanie to dotyczyło oceny tolerancji żołądkowo-jelitowej, przestrzegania zaleceń i przydatności odżywczej preparatu Renastep w okresie 28 dni u uczestników w wieku 3- 18 lat z PChN.

Wyniki wspomnianego badania wskazują, że w populacji pediatrycznej (średnia wieku: 8 lat; n=18; głównie pacjenci w stadium 5 PChN) większość pacjentów przestrzegała zaleceń, co do odpowiedniego dawkowania produktu (ok. 82%), a Renastep zaspokajał blisko połowę ich zapotrzebowania energetycznego. Wyniki w zakresie parametrów biochemicznych tj. poziomu fosforanów czy stężenia potasu w surowicy u pacjentów z wysokimi wartościami referencyjnymi uległy poprawie. Produkt ten był dobrze tolerowany a 89% pacjentów chciałoby kontynuować jego stosowanie. Średnie spożycie Renastepu wynosiło 380 ml/dzień. Poza wspomnianym badaniem odnaleziono trzy opisy przypadków zamieszczone na stronie producenta :

- Renastep Case Study 2021a – zastosowania Renastepu u 5-letniego dziecka ze schyłkową niewydolnością nerek poddawanego dializie otrzewnowej;
- Renastep Case Study 2021b – zastosowania Renastepu u 3-letniego dziecka z nefrogeną moczówką prostą (Nephrogenic Diabetes Insipidus, NDI);
- Renastep Case Study 2021c – zastosowania Renastepu u 4-letniego dziecka z przewlekłą niewydolnością nerek.

Według powyższych publikacji, Renastep ze względu na niską zawartość potasu oraz fosforanów jest korzystny w populacji pediatrycznej z przewlekłymi schorzeniami nerek i umożliwia dostarczenie dodatkowych kalorii w diecie, bez negatywnego wpływu na poziom potasu i fosforanów we krwi.

Od ostatniego opracowania opublikowano wytyczne KDIGO 2024, w których nie przedstawiono bezpośrednich rekomendacji dotyczących postępowania dietetycznego u pacjentów pediatrycznych z PChN, zamieszczono natomiast wskazówki praktyczne, z których wynika iż stosowanie prawidłowej diety stanowi jeden ze sposobów terapii pacjentów z PChN. W dokumencie nie przedstawiono zaleceń dla stosowania konkretnych śsspż.

W rekomendacjach uwzględnionych w poprzednim opracowaniu (PTN 2019, NHS 2022, PRNT 2021, NICE 2021, BDA 2020 i PRNT 2020) wskazano, że w przypadku dzieci z PChN należy monitorować i ograniczać poziom fosforanów i potasu oraz zapewnić odpowiednią podaż energetyczną (zapotrzebowanie energetyczne u dzieci z PChN powinno być analogiczne jak u dzieci zdrowych). Renastep wymieniany był jedynie przez brytyjskie wytyczne (NHS 2022) z zastrzeżeniem, że nie powinien być stosowany jako jedyne źródło żywienia oraz bez konsultacji z pediatrycznym dietetykiem nefrologicznym.

Problem ekonomiczny

Prognozowane wydatki płatnika publicznego związane z refundacją śsspż Renastep w ramach importu docelowego przyjmując liczbę pacjentów podaną przez ekspertów w dz. nefrologii dziecięcej (40 do 60 pacjentów rocznie) i zużycie od 1 do 3 butelek dziennie wyniosą w ok. 1,2 mln. zł (min. 0,5 mln. zł; max. 2,2 mln zł.).

Ograniczenia analizy ekonomicznej związane są z trudnościami w oszacowaniu wielkości populacji pacjentów, dla której będzie wnioskowane sprowadzenie danego śsspż w ramach importu docelowego (w 2024 r złożono 12 wniosków) dane oparte na opinie ekspertów klinicznych; stosowanie produktu jako uzupełnienie diety u dzieci, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, indywidualny czas stosowania w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego, przyjęcia, że wszyscy pacjenci będą stosować preparat codziennie przez pełen rok.

Dodatkowo, w związku z dostępnością alternatywnych technologii, które uzyskały pozytywną opinię Rady i rekomendację Prezesa AOTM liczba dzieci przyjmujących Renastart będzie mniejsza niż założono, a udział wnioskowanego produktu jest trudny do przewidzenia.

Koszt ponoszony przez płatnika za taką ilość preparatu, która dostarcza liczbę kcal odpowiadającą liczbie kcal zawartej w 1 butelce 125 ml Renastep (250 kcal) w oparciu o dane ze zlecenia MZ oszacowano na 33,04 zł w przypadku produktu Renastart i 26,76 zł w przypadku produktu Kindergen. Koszt orientacyjny 1 butelki 125 ml Renastep, przyjęty za zleceniem MZ wynosi 32,35 zł.

Główne argumenty decyzji:

- *Zalecenia dotyczące leczenia dzieci w PChN (PTN 2019, NHS 2022, PRNT 2021, NICE 2021, BDA 2020 i PRNT 2020).*
- *Wcześniejsza pozytywna opinia Rady i pozytywna rekomendacja Prezesa AOTM.*
- *Brak nowych danych naukowych i wytycznych, które miałyby wpływ na zmianę wcześniejszych decyzji.*
- *Pozytywna opinia ekspertów klinicznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania nr: DPL.4211.4.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.14.2022) „Renastep we wskazaniu: niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych do 7 roku życia”; data ukończenia: 20.11.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 172/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Arginine Veyron w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Arginine Veyron (syrop, 250 ml) we wskazaniach:

- *deficyt karbamoilotransferazy ornitynowej (OTC),*
- *deficyt syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS 1),*
- *argininobursztynuria,*
- *cytrulinemia typu I,*
- *lizynuryczna nietolerancja białka,*
- *padaczka (drgawki) pirydoksynozależna.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia jest opinia w sprawie wydawania zgód na refundację leku Arginine Veyron we wskazaniach: deficyt karbamoilotransferazy ornitynowej (OTC), deficyt syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS 1), argininobursztynuria, cytrulinemia typu I, lizynuryczna nietolerancja białka oraz padaczka (drgawki) pirydoksynozależna. Wydane poprzednio Stanowisko Rady Przejrzystości nr 20/2022 oraz rekomendacja Prezesa nr 21/2022 były pozytywne. W niniejszym zleceniu Ministerstwa Zdrowia (pismo znak: PLD.45340.1779.2025.1.KB z 8 września 2025 r.) oprócz ocenianych w 2021 r. wskazań uwzględniono dodatkowo deficyt syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS 1) oraz argininobursztynurię.

Deficyt transkarbamylazy ornitynowej (OTCD, ang. ornithine transcarbamylase deficiency, OTC deficiency) jest wrodzoną wadą metaboliczną, której dziedziczenie jest sprzężone z chromosomem X. Jest to jedyne zaburzenie cyklu mocznikowego sprzężone z płcią. OTCD wynika z mutacji w genie OTC (Xp21.1). Transkarbamylaza ornitynowa jest enzymem odpowiedzialnym za katalizowanie reakcji przemiany fosforanu karbamoilu i ornityny w cytrulinę i fosforan. Mutacje, które całkowicie znoszą aktywność OTC, prowadzą do ciężkiej postaci noworodkowej, natomiast mutacje prowadzące do zmniejszenia aktywności enzymu skutkują fenotypami o późnym początku.

Biochemiczne objawy OTCD obejmują podwyższone stężenie amoniaku w osoczu, podwyższony poziom glutaminy w osoczu, niski poziom lub brak cytruliny w osoczu oraz podwyższony poziom kwasu orotowego w moczu, co odróżnia OTCD od innych proksymalnych zaburzeń cyklu mocznikowego. OTCD jest najczęstszym zaburzeniem cyklu mocznikowego, a szacunkowa częstość występowania wynosi od 1:56 500 do 1:113 000 żywych urodzeń.

Natomiast wrodzone, autosomalnie recesywne zaburzenia cyklu mocznikowego (ICD-10: E72.2) prowadzą do upośledzenia detoksykacji amoniaku i hiperamonemii. Argininobursztynuria wynika z niedoboru liazy argininobursztynianowej (ASL), a niedobór CPS1 – z braku syntetazy karbamoilofosforanowej I, katalizującej pierwszy etap cyklu mocznikowego.

Częstość występowania AS szacuje się na 1:70 000–1:218 000, a CPS1 na 1:526 000–1:1 300 000 żywych urodzeń. Obie choroby mogą ujawniać się w okresie noworodkowym ciężką hiperamonemią z drgawkami i śpiączką lub w późniejszym wieku łagodniejszymi objawami (wymioty, opóźnienie rozwoju, zaburzenia poznawcze, hepatomegalia).

Leczenie polega na ograniczeniu podaży białka, suplementacji argininy i stosowaniu związków wiążących amoniak (fenylomaślan sodu, benzoesan sodu). W ciężkich przypadkach konieczna jest hemodializa lub przeszczepienie wątroby. Rokowanie zależy od wczesnego rozpoznania, jednak często pozostają trwałe deficyty neurologiczne.

Cytrulinemia typu I znana również jako niedobór syntetazy argininobursztynianu (ASSD, ang. Arginosuccinate synthetase deficiency) jest rzadką chorobą genetyczną spowodowaną niedoborem syntetazy argininobursztynianu. Obraz kliniczny cytrulinemii typu I jest niejednorodny, od ciężkiej postaci noworodkowej (źle rokującej), do bezobjawowego. Objawy kliniczne choroby obejmują m. in.: noworodkową encefalopatię hiperamonemiczną z letargiem, napady padaczkowe i śpiączkę; zaburzenia czynności wątroby we wszystkich grupach wiekowych; epizody hiperamonemii i objawy neuropsychiatryczne u dzieci lub dorosłych. Choroba występuje z częstością 1-9/100 000. Dzieci zdiagnozowane i u których zastosowano odpowiednie leczenie przeżywają przez czas nieokreślony, zwykle ze znacznym deficytem neurologicznym. Wszystkie dzieci ze szczytowym stężeniem amoniaku w osoczu większym niż 480 $\mu\text{mol/L}$ lub początkowym stężeniu amoniaku w osoczu większym niż 300 $\mu\text{mol/L}$ mają upośledzenie funkcji poznawczych. Najdłuższe przeżycie nieleczzonego niemowlęcia z klasyczną cytrulinemią typu I wynosi 17 dni.

Padaczka (drgawki) pirydoksynozależna jest rzadką chorobą neurometaboliczną charakteryzującą się nawracającymi, opornymi na leczenie napadami padaczkowymi w okresie prenatalnym, noworodkowym i postnatalnym, opornymi na leki przeciwpadaczkowe (AED), ale reagującymi na farmakologiczne dawki pirydoksyny (witaminy B6).

Rokowanie jest zmienne i zależy m.in. od genotypu, współistniejących nieprawidłowości w rozwoju mózgu i reakcji na leczenie pirydoksyną. Opóźnienie w diagnozie i rozpoczęciu leczenia zazwyczaj wiąże się z gorszym rokowaniem, co wiąże się z poważniejszymi zaburzeniami neurorozwojowymi.

Lizynuryczna nietolerancja białka jest rzadkim zaburzeniem wchłaniania i transportu aminokwasów charakteryzującym się wtórnym zaburzeniem cyklu moczniowego z zahamowaniem przyrostu masy ciała, hepatosplenomegalią i szerokim spektrum objawów klinicznych, w tym hematologicznych (zespół aktywacji makrofagowej lub limfohistiocytoza hemofagocytarna, HLH), immunologicznych, trawiennych, nerkowych, płucnych i/lub kostnych.

Rokowanie jest zróżnicowane w zależności od wczesnego rozpoznania choroby, hiperamonemii i powikłań płucnych. Zajęcie płuc stanowi główną przyczynę niekorzystnego przebiegu klinicznego i zgonu. Długoterminowe wyniki leczenia są związane również z nieprzewidywalnym ryzykiem wystąpienia objawów autoimmunologicznych i/lub dysimmunologicznych, niezależnie od postępowania metabolicznego.

Produkt leczniczy Arginine Veyron nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Jednak ze względu na niedostępność w krajowym obrocie ma zostać sprowadzony z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2025 r. poz. 750, z późn. zm.). Jest on dopuszczony do obrotu na terenie Francji.

Dowody naukowe

Wyniki badań uwzględnionych w niniejszej analizie klinicznej pozostają spójne z wynikami opisanymi w poprzednim Stanowisku Rady Przejrzystości nr 20/2022. Dane z retrospektywnego badania kohortowego Imbard 2023, obejmującego pacjentów m.in. z niedoborem transkarbamoilazy ornityny (OTC) i syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS1), wskazują, że najczęściej stosowaną początkową terapią była doustna arginina. W dłuższej perspektywie dominowało jednak stosowanie cytruliny, zarówno w monoterapii, jak i terapii skojarzonej, co wiązało się z dłuższym utrzymaniem leczenia. Analiza wykazała odmienne profile skuteczności zależne od rodzaju UCD: u pacjentów z niedoborem OTC najkorzystniejszą kontrolę epizodów dekompensacji uzyskiwano podczas terapii cytruliną, natomiast u pacjentów z niedoborem CPS1 — podczas suplementacji argininy. W całej populacji UCD najlepszy profil metaboliczny, oceniany na podstawie stężeń amoniaku, obserwowano podczas stosowania cytruliny w monoterapii; z kolei arginina w monoterapii charakteryzowała się najgorszymi rezultatami. Jednocześnie tylko cytrulina prowadziła do istotnego zwiększenia stężenia argininy w osoczu. Działania niepożądane, głównie nudności i ból brzucha, były rzadkie i skutkowały przerwaniem terapii jedynie u pojedynczych pacjentów. Autorzy badania

podkreślili kluczową rolę cytruliny w leczeniu UCD oraz jej potencjalnie większą skuteczność metaboliczną w porównaniu z arginina.

W przekrojowym badaniu obserwacyjnym Molema 2019, wykorzystującym dane z rejestru E-IMD i obejmującym pacjentów z różnymi postaciami UCD, w tym m.in. z argininobursztynurią (ASS), cytrulinemią typu I (ASL), OTC i CPS1, wykazano powszechność suplementacji arginina i/lub cytruliną zarówno u pacjentów objawowych, jak i bezobjawowych. W deficytach CPS1 i OTC częściej stosowano cytrulinę w monoterapii niż arginina. Autorzy zwrócili uwagę, że pacjenci z niedoborem OTC lub CPS1 otrzymujący cytrulinę mieli wyższe stężenia argininy w osoczu niż pacjenci bez suplementacji lub przyjmujący wyłącznie arginina.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia (pismo znak PLD.45340.1779.2025.1.KB) wskazano, iż w 2024 r. wydano łącznie 17 zgód na refundację produktu leczniczego łącznie dla 11 pacjentów (unikalne nr PESEL) we wszystkich analizowanych wskazaniach. Szacunkowa cena netto produktu leczniczego Arginine Veyron wynosi 37,20 PLN za op. 250 ml (syrop).

W związku z powyższym, na podstawie danych przekazanych w zleceniu MZ poglądowo oszacowano średnią liczbę opakowań produktu Arginine Veyron przypadającą na jednego pacjenta rocznie oraz średni roczny koszt stosowania produktu Arginine Veyron u jednego pacjenta dla każdego wskazania. Ze względu na brak refundacji Arginine Veyron w populacji pacjentów z argininobursztynurią roczne średnie zużycie opakowań obliczono uwzględniając średni wiek pacjentów z argininobursztynurią (9,8 lat) oraz maksymalną dawkę argininy 6 g / dobę z badania Molema 2019. Biorąc pod uwagę, że w publikacji Molema 2019 odnoszono się do dawki maksymalnej argininy można uznać, że obliczona na tej podstawie roczna liczba opakowań przypadająca na pacjenta (53 op.) stanowi również wariant maksymalny.

Zgodnie z oszacowaniami analityków, przy uwzględnieniu liczebności populacji na podstawie danych MZ refundacja produktu leczniczego Arginine Veyron w ocenianych wskazaniach będzie wiązać się z wydatkami płatnika publicznego w wysokości ok. 19 tyś. PLN rocznie.

W ramach obliczeń przeanalizowano również wariant zakładający liczebność populacji oszacowaną na podstawie opinii eksperta. Uwzględniając dane zamieszczone w opinii eksperta refundacja produktu leczniczego Arginine Veyron w ocenianych wskazaniach będzie wiązać się z wydatkami płatnika publicznego w wysokości ok. 68 tyś. PLN.

Należy mieć na uwadze, że obliczenia te mają charakter jedynie poglądowy, z uwagi na indywidualny dobór dawkowania i czas trwania terapii produktem Arginine Veyron oraz niepewność dotyczącą liczebności chorych w kolejnych latach przedstawione oszacowania wiążą się z ograniczeniami.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak nowych danych zmieniających poprzednie wnioskowanie Rady;*
- *Nowe wskazania poparte dowodami naukowymi;*
- *Nieznaczny wpływ na wydatki 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 2025 r. poz. 1461) 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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DRe.4211.2.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.41.2021) Arginine Veyron we wskazaniach: deficyt karbamoilotransferazy ornitynowej (OTC), deficyt syntetazy karbamoilofosforanowej I (CPS 1), argininobursztynuria, cytrulinemia typu I, lizynuryczna nietolerancja białka, padaczka (drgawki) pirydoksynozależna”



Opinia Rady Przejrzystości
nr 208/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
o projekcie programu „Program wczesnego wykrywania wad wzroku
u dzieci 5-letnich, mieszkańców Bielska-Białej, na lata 2026-2028”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 5-letnich, mieszkańców Bielska-Białej, na lata 2026-2028”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ zaplanowany do realizacji przez Miasto Bielsko-Białą. Celem głównym PPZ jest poprawa stanu zdrowia u dzieci 5-letnich, mieszkańców Bielska-Białej, przez zwiększenie o 20% wczesnego wykrycia i zdiagnozowania wad wzroku oraz wdrożenie postępowania leczniczego, które zapobiegnie progresji i utrwalaniu wad wzroku w badanej populacji.

Czas realizacji programu – lata 2026-2028.

Populację stanowią:

- *5-letnie dzieci będące mieszkańcami Bielska-Białej (ok. 2650 dzieci), co stanowi 70% populacji docelowej;*
- *rodzice/opiekunowie prawni dzieci w ramach działań edukacyjnych.*

Interwencje obejmą:

- *działania edukacyjne;*
- *badania przesiewowe wzroku;*
- *konsultację okulistyczną.*

Budżet programu ok. 529 800 zł:

- *194 800 zł - 2026 r.;*
- *177 400 zł - 2027 r.;*
- *157 600 - 2028 r.*

Zmiany w kosztach w poszczególnych latach wynikają ze zmiany przewidzianej liczby uczestników programu, odpowiednio 974 osób w 2026 r., 887 osób w 2027 r. oraz 788 osób w roku 2028 r.

Źródło finansowania – Miasto Bielsko-Białą.

Oceniany projekt dotyczy problemu zdrowotnego, jakim są wady wzroku. W projekcie odniesiono się do globalnej i krajowej sytuacji epidemiologicznej oraz do Map Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 w województwie śląskim.

Badania przesiewowe w kierunku wad wzroku znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej realizowanych przez lekarki i pielęgniarki POZ oraz pielęgniarki i higienistki szkolone. Porada okulistyczna dla dzieci, w ramach której mogą być wykonane inne testy przesiewowe znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS.

Ekspertcy są zgodni, że należy finansować PPZ dotyczące badań przesiewowych w kierunku wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci. Nie ma zgody co do optymalnego wieku, w jakim realizowany powinien być skrining w kierunku wad wzroku oraz jakie powinny być interwencje w poszczególnych grupach wiekowych.

Ekspertcy podkreślają, że wczesne wykrywanie i odpowiednia korekcja wad wzroku jest kluczowa dla prawidłowego rozwoju dziecka, a ich opóźnione wykrycie może niekiedy powodować nieodwracalne zmiany.

Uwagi Rady:

- *Cel główny - poprawa stanu zdrowia u dzieci 5-letnich przez zwiększenie o 20% wczesnego wykrycia i zdiagnozowania wad wzroku oraz wdrożenie postępowania leczniczego został sformułowany nieprawidłowo, w sposób zbyt ogólny. Składa się z dwóch odrębnych działań dotyczących działań diagnostycznych i leczniczych.*
- *Cel szczegółowy nr 1 nie odnosi się do uzyskania efektu zdrowotnego.*
- *Cel szczegółowy nr 2 został sformułowany nieprawidłowo, w postaci działania.*
- *W celu szczegółowym nr 3 nie wskazano uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.*
- *Cel szczegółowy nr 4 nie zawiera podanej wartości docelowej.*
- *Niewielka liczba prawidłowo sformułowanych mierników powoduje utrudnienie przeprowadzenia kompleksowej ewaluacji działań.*
- *Nie określono liczebności rodziców/opiekunów prawnych, do których będą skierowane działania edukacyjne.*
- *Opis działań edukacyjnych został przedstawiony nieprecyzyjnie.*
- *Nie określono jednoznacznie formy realizacji edukacji ani czasu jej trwania.*

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.431.22.2025 „Program wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci 5-letnich, mieszkańców Bielska-Białej, na lata 2026-2028”, data ukończenia: listopad 2025 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 209/2025 z dnia 24 listopada 2025 roku
o projekcie programu „Rozszerzenie dostępu do świadczeń
zdrowotnych z zakresu urologii dla mieszkank Wrocławia
pn. Specjaliści o nietrzymaniu moczu”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Rozszerzenie dostępu do świadczeń zdrowotnych z zakresu urologii dla mieszkank Wrocławia pn. Specjaliści o nietrzymaniu moczu”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiot oceny: projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Wrocław.

Założenia programu: realizacja kampanii informacyjno-promocyjnej, nabór uczestników do programu, szkolenia kadry medycznej, interwencję edukacyjną, profilaktyczną oraz diagnostyczną, dotyczące zaburzeń urologicznych u kobiet.

Populacja docelowa: kobiety w wieku ≥ 18 lat mieszkające we Wrocławiu (z diagnozą NTM oraz bez diagnozy, ale u których występują objawy sugerujące NTM) – 250 kobiet, z czego „Indywidualnym Planem Specjalistycznej Opieki Medycznej” zostanie objętych 125 kobiet, w zakresie działań edukacyjnych w formie zdalnej – ok. 10.000 kobiet, oraz personel medyczny w zakresie działań szkoleniowych (lekarze POZ, lekarze ginekologzy i urologzy, dietetycy, psychologzy i studenci psychologii, pielęgniarki i położne, studenci st. Medycznych – łącznie 100 pracowników).

Okres realizacji programu: 2026 rok.

Koszty: 435.500,00 zł.

Źródło finansowania: środki z budżetu miasta Wrocławia.

Problem zdrowotny: nietrzymanie moczu.

Mapy Potrzeb Zdrowotnych: na lata 2022-2026 nie zawierają danych epidemiologicznych dotyczących NTM. Również w ramach wyzwań systemu opieki zdrowotnej i rekomendowanych kierunków działań na terenie województwa dolnośląskiego na podstawie danych za 2019 r. nie odniesiono się do omawianego problemu zdrowotnego.

Cel główny: uzyskanie lub utrzymanie w trakcie trwania programu w 2026 roku wysokiego poziomu wiedzy teoretycznej i praktycznej dotyczącej czynników

ryzyka występowania NTM, objawów i konsekwencji zdrowotnych choroby, korzyści wynikających z wczesnej diagnostyki, profilaktyki i leczenia, u co najmniej 60% kobiet w wieku 18+, a uczestniczących w działaniach edukacyjnych programu.

Cele szczegółowe: 1) - uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy z zakresu etiologii, patogenez, obrazu klinicznego, profilaktyki, diagnozowania i leczenia NTM wśród minimum 75% personelu medycznego zaangażowanego w realizację programu w 2026 r.; 2) - zwiększenie o 50% liczby kobiet w wieku 18+, dotąd niezdiagnozowanych pod kątem NTM, które otrzymały odpowiednią diagnostykę i leczenie w ramach PPZ w roku 2026; 3) poprawa funkcjonowania w życiu rodzinnym, zawodowym i społecznym u 50% kobiet z NTM w 2026 r. poprzez udział w konsultacjach specjalistycznych, w zajęciach rehabilitacyjnych, w szkoleniach oraz wdrożenie Indywidualnego Planu Specjalistycznej Opieki Medycznej opracowanego we współpracy z zespołem specjalistów.

Eksperti poproszeni o opinię nt. zasadności realizacji PPZ w zakresie NTM, wśród podstawowych działań polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki NTM wskazali m.in.: działania informacyjne skierowane do pacjentek (z opisem objawów, rodzajów NTM i możliwych interwencji terapeutycznych), a także organizację szkoleń dla fizjoterapeutów ze wskazaniem ośrodków mających doświadczenie w chwili obecnej w zakresie profilaktyki NTM. W opiniach zaznaczono, że najlepszą formą działań edukacyjnych jest stworzenie ulotek oraz strony internetowej ze wskazaniem wymienionych elementów, opisem prawidłowo wykonywanych ćwiczeń dna miednicy i wskazaniem placówek udzielających świadczeń z zakresu profilaktyki i leczenia NTM w ramach NFZ. Powyższe elementy wnioskowany program zawiera. Eksperti zgodnie stwierdzają, że programy polityki zdrowotnej dotyczące profilaktyki NTM powinny być prowadzone.

Planowane przez wnioskodawcę interwencje w zakresie diagnostyki NTM oraz fizjoterapii w większości znajdują odzwierciedlenie w odnalezionych rekomendacjach/wytycznych towarzystw naukowych.

Realizator programu: podmiot, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.

Oceniany projekt programu zawiera wykaz piśmiennictwa oraz referencje bibliograficzne, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

Uwagi Rady:

- nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej w celu głównym;
- cel szczegółowy nr 2, sformułowany jak w programie, nie odnosi się do efektu zdrowotnego, a w swoim brzmieniu przypomina bardziej działanie;

- *cel szczegółowy nr 3 został sformułowany w sposób zbyt ogólny i nie pozwoli na przeprowadzenie obiektywnego pomiaru;*
- *nie wskazano uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych w celach szczegółowych;*
- *mierniki 3 i 4 nie odnoszą się bezpośrednio do celów programu;*
- *wskaźniki wskazane w podsumowaniu (za wyjątkiem liczby osób skierowanych do diagnozowania i terapii w ramach NFZ, jako wskaźnik docelowy 50 osób) nie spełniają funkcji miernika efektywności;*
- *brak kryteriów włączenia/wyłączenia dla kadry medycznej, która będzie brała udział w szkoleniach;*
- *w przedstawionych kryteriach włączenia/wyłączenia wnioskodawca nie wskazał na wyrażenie pisemnej zgody przez uczestnika na udział w programie.*

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.431.23.2025 „Rozszerzenie dostępu do świadczeń zdrowotnych z zakresu urologii dla mieszkanki Wrocławia pn. Specjaliści o nietrzymaniu moczu”; data ukończenia: listopad 2025 r. oraz z Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki nietrzymania moczu u kobiet – wspólne podstawy oceny” z marca 2018 r.