

- Tecentriq (atezolizumab i.v),
 - Tecentriq (atezolizumab s.c.),
- w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Oxlumo (lumasiranum) w ramach programu lekowego B.129.FM. „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)”.
 8. Przygotowanie stanowisk w sprawie zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej:
 - Oznaczenie kalprotektyny w kale,
 - Oznaczenie stężenia fosforanów i stężenia wapnia,
 - Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF-23,jako świadczeń gwarantowanych.
 9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia”.
 10. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Poprawa jakości życia u osób cierpiących na przewlekłe choroby układu ruchu dla mieszkańców Miasta i Gminy Połaniec na lata 2026-2030”.
 11. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarrii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2026 – 2027”.
 12. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Poprawa jakości życia poprzez profilaktykę i rehabilitację osób cierpiących na choroby układu mięśniowo-szkieletowego, będących mieszkańcami Miasta i Gminy Osiek”.
 13. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Tecentriq, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 6 porządku obrad.

Marcin Lipowski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Oxlumo, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 7 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada jednogłośnie (9 głosów „za”) zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji omówił raport dot. Keytruda.

W trakcie prezentacji do posiedzenia dołączył Robert Bryzek, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Marcin Kołakowski, Aleksandra Zasada, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska przygotowali i przedstawili Roman Junik i Marcin Kołakowski.

W dalszej części dyskusji i doprecyzowaniu uchwały udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała, Roman Junik, Małgorzata Dziedziak i Aleksandra Zasada.

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

Ad 3. Analitik Agencji zaprezentował dane dot. leku Tremfya w programie lekowym B.55.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak, Marcin Lipowski, Aleksandra Zasada, Marcin Kołakowski i Robert Bryzek.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Marcin Lipowski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Dziedziak, Marcin Kołakowski i Jacek Rubik.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. leku Tremfya w programie lekowym B.32.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Marcin Lipowski i Andrzej Dąbrowski.

W dyskusji udział wzięli: Małgorzata Dziedziak, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała i Marcin Lipowski.

W formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli: Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Bała.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił dane z raportu dot. leku Welireg.

Rada wysłuchała stanowisk ekspertów, którzy również odpowiadali na zadane pytania.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Aleksandra Zasada i Jacek Rubik.

W dyskusji głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Dziedziak, Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Jacek Rubik.

W formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli: Małgorzata Bała, Jacek Rubik, Małgorzata Dziedziak, Andrzej Dąbrowski, Roman Junik, Aleksandra Zasada i Marcin Lipowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze dane z raportów dot. leku Tecentriq (atezolizumab i.v) i Tecentriq (atezolizumab s.c.).

Rada wysłuchała stanowisk ekspertów, którzy odpowiadali na pytania Rady.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Jacek Rubik, Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady dot. leku Tecentriq (atezolizumab i.v) przedstawili Marcin Kołakowski i Małgorzata Bała.

W dalszej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Dziedziak, Marcin Kołakowski i Małgorzata Bała.

W formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy jednym głosie „wstrzymującym” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Projekt stanowiska Rady dot. leku Tecentriq (atezolizumab s.c.) przedstawili Marcin Kołakowski i Małgorzata Bała.

W formułowaniu końcowej wersji uchwały uczestniczyli: Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy jednym głosie „wstrzymującym” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Oxlumio.

We wstępnej dyskusji głos zabrali: Jacek Rubik, Małgorzata Bała, Aleksandra Zasada i Małgorzata Dziedziak.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Jacek Rubik i Aleksandra Zasada, a w formułowaniu ostatecznej wersji uchwały głos zabrali: Małgorzata Bała, Jacek Rubik, Małgorzata Dziedziak i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy jednym głosie „wstrzymującym” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitycy Agencji zaprezentowali dane z raportów:

1) Oznaczenie kalprotektyny w kale.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Anna Czerniecka-Kubicka i Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji Rady udział wzięli: Roman Junik, Małgorzata Bała, Anna Czerniecka-Kubicka, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 8 do protokołu).

Posiedzenie opuściła Aleksandra Zasada.

2) Oznaczenie stężenia fosforanów i stężenia wapnia.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Anna Czerniecka-Kubicka i Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji Rady udział wzięli: Małgorzata Bała, Anna Czerniecka-Kubicka i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 9 do protokołu).

3) Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF-23.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Małgorzata Dziedziak i Anna Czerniecka-Kubicka.

W dyskusji Rady udział wzięli: Małgorzata Bała, Anna Czerniecka-Kubicka i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 2. cd. Z uwagi na zidentyfikowaną omyłkę pisarską w treści uchwały, Rada podjęła decyzję o poprawie treści uchwały, a następnie Prowadząca posiedzenie zarządziła reasumpcję głosowania, w wyniku której Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 10. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego dot. FASD (Wrocław).

Projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek, a głos w dyskusji zabrali Małgorzata Bała i Robert Bryzek.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 11. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego w sprawie poprawy jakości życia u osób cierpiących na przewlekłe choroby układu ruchu (miasto i gmina Połaniec).

Projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 12. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii (powiat wągrowiecki).

We wstępnej dyskusji udział wzięli Marcin Lipowski i Robert Bryzek.

Projekt opinii Rady przedstawił Roman Junik.

W dalszej części dyskusji Rady głos zabrali: Małgorzata Bała, Roman Junik i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 13. Analityk Agencji omówił program polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego dot. poprawy jakości życia poprzez profilaktykę i rehabilitację osób cierpiących na choroby układu mięśniowo-szkieletowego (miasto i gmina Osiek).

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Bała.

W związku z brakiem głosów w dyskusji Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 14 do protokołu).

Ad 14. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 17:43.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 178/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu:
leczenie pacjentów chorych na raka dróg żółciowych
(ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 05901549325126, w ramach programu lekowego B.5. „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)” w części dotyczącej raka dróg żółciowych, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka, tak aby koszty leczenia nie były większe niż komparatora.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu leku Keytruda, pembrolizumabum, koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml 1 fiolka we wskazaniu „Leczenie chorych na raka dróg żółciowych (RDŻ) (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9) w ramach programu lekowego B.5., poziom odpłatności - bezpłatnie, w ramach istniejącej grupy limitowej 1143.0, pembrolizumab w skojarzeniu z chemioterapią zawierającą gemcytabinę i cisplatynę (PEMgc) u dorosłych chorych z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym gruczolakorakiem dróg żółciowych. Wniosek obejmuje instrumenty dzielenia ryzyka.

Lek jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z receptorem programowanej śmierci komórki 1 (PD-1) i blokuje jego interakcję z ligandami PD-L1 i PD-L2. Keytruda (pembrolizumab) wzmacnia przeciwnowotworową odpowiedź limfocytów T poprzez zahamowanie wiązania PD-1 z ligandami. Rak dróg żółciowych to najczęściej gruczolakorak (92 -95%) wywodzący się z nabłonka błony śluzowej dróg żółciowych. W zależności od lokalizacji wyróżniamy podtypy: wewnątrzwątrobowy,

okołotnąkowy i dystalny. W chwili rozpoznania u większości chorych zmiana nie kwalifikuje się do wycięcia. Odsetek przeżyć pięcioletnich wynosi 5-10%.

Komparatorem jest durwalumab z gemcytabiną i cisplatyną (DURgc) w gruczolakoraku dróg żółciowych, w ramach tego samego programu lekowego co ewentualnie pembrolizumab i zgodnie z takimi samymi kryteriami kwalifikacji.

Pembrolizumab nie był dotąd oceniany w w/w wskazaniu przez AOTMiT. Uzyskał pozytywną rekomendację Prezesa w (nr 18/2025 z dnia 5 lutego 2025 r.) w programie lekowym B.6. „Leczenie chorych na raka płuca oraz międzybłoniaka opłucnej” po spełnieniu dodatkowego warunku polegającego na zastosowaniu dodatkowego instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego całkowity wpływ na budżet płatnia (CAP) na poziomie wydatków z analizy wpływu na budżet w scenariuszu minimalnym. Pozytywną rekomendację Rady Przejrzystości i Prezesa AOTMiT uzyskał pembrolizumab w programie lekowym „Leczenie chorych na raka szyjki macicy”.

Dowody naukowe

Badaniem oceniającym skuteczność pembrolizumabu z gemcytabiną i cisplatyną vs placebo z gemcytabiną i cisplatyną było badanie Keynote-966 z dostępnymi danymi indywidualnymi, gdzie OS w grupie badanej wyniosło 12,7 mies. vs grupy placebo – 10,9 mies. (HR 0,83 [95% CI 0.72-0.95], $p=0,0034$. Zdarzenia niepożądane stopnia 3 i 4 wystąpiły 79% badanych i 75% w grupie placebo. Odpowiednio 70% i 69% było związane z leczeniem. Badaniem oceniającym DURgc w identycznym wskazaniu było badanie TOPAZ-1, gdzie opublikowano zagregowane dane. Ze względu na brak bezpośredniego porównania,

Ukazało się 17 publikacji dotyczących badania KEYNOTE-966, porównywano PEMgc vs PLCgc, badania dodatkowe dotyczące stosowania PEMgc – NCT032660712 (2 publikacje, badanie jednoramienne), Robinson 2024 (opis przypadku).

Analiza MAIC – [redacted], w tym badanie TOPAZ-1 dla komparatora), opracowania wtórne z porównaniem pośrednim PEMgc vs DURgc: [redacted], Li 2025, Wang 2024, Xu 2025, Vitale 2024, Mauro 2024, Heumann 2024, dwa przeglądy systematyczne Wang 2025 i Whaley 2025 oraz opublikowane po dacie złożenia wniosku badanie obserwacyjne Sasaki 2025.

Wytyczne kliniczne

PTOK 2025, ESMO 2024 – standardowym leczeniem 1. linii chorych bez przeciwwskazań jest skojarzenie durwalumabu lub pembrolizumabu z gemcytabiną i cisplatyną (I A).

NCCN 2025 – Pembrolizumab lub durwalumab w skojarzeniu z gemcytabiną i cisplatyną (kat. 1) w przypadku pacjentów, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorem punktu kontrolnego.

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca zaproponował RSS w postaci [REDAKTOWANO] Zgodnie ze scenariuszem podstawowym wnioskodawcy interwencja jest [REDAKTOWANO] – oszacowany koszt różniący w horyzoncie dożywotnym wyniósł [REDAKTOWANO] PLN. Progowa cena zbytu netto wg wnioskodawcy wynosi [REDAKTOWANO]

Wg Agencji, uwzględniając dodatkowe parametry uznano, że wnioskowana [REDAKTOWANO]. Progowa cena zbytu netto wynosi [REDAKTOWANO] /opak., a wynikająca z art. 13 ustawy wynosi [REDAKTOWANO] /opak.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na [REDAKTOWANO] Założono, że wnioskowana technologia przejmie [REDAKTOWANO]

Wg wnioskodawcy wyniki z RSS dla 1 roku refundacji leku Keytruda wyniosą [REDAKTOWANO] Wydatki NFZ na wnioskowany lek wyniosą odpowiednio [REDAKTOWANO] Obliczenia wnioskodawcy nie uwzględniły realnej ceny durwalumabu. [REDAKTOWANO]

Rekomendacje refundacyjne

Rekomendacje pozytywne:

- CADTH 2024 (w uzasadnieniu podają też niższy koszt pembrolizumabu w porównaniu do durwalumabu);
- G-Ba 2024;
- HAS 2024: 21.03.2024 negatywna odnośnie do zgody na wcześniejszy dostęp do leku; 27.03.2024 pozytywna.

Lek Keytruda jest refundowany w co najmniej 12/30 krajów UE i EFTA.

Główne argumenty decyzji:

- *W porównaniach pośrednich na podstawie wyników badań naukowych nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy pembrolizumabem i komparatorem;*
- *Postępowanie zalecane w wytycznych klinicznych;*
- *Pozytywne rekomendacje refundacyjne w trzech krajach.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DAS.423.1.7.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) we wskazaniu: LECZENIE PACJENTÓW CHORYCH NA RAKA DRÓG ŻŁĆIOWYCH (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”; data ukończenia: 5 grudnia 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907, 1192) 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, 1192).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.

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

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

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907, 1192)¹⁾ 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, 1192).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnice przedsiębiorców AstraZeneca AB i MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB i MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907, 1192)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025r., poz. 907, 1192).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB, MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 179/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumabum) w ramach programu
lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem
jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Tremfya (guselkumabum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 200 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05413868126150,
- Tremfya (guselkumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 200 mg, 1 fiol., GTIN: 05413868126143,
- Tremfya (guselkumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 amp.-strzyk., GTIN: 05413868113006,

w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest Przedmiotowy wniosek dotyczący objęcia refundacją produktu leczniczego: Tremfya (guselkumab) w leczeniu dorosłych chorych z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź, utrata odpowiedzi lub nietolerancja na leczenie konwencjonalne lub leczenie lekami biologicznymi w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”.

Guselkumab (GUS) IgG1 λ jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym (mAb), które selektywnie wiąże się z interleukiną 23 (IL-23) z wysoką swoistością i powinowactwem poprzez miejsce wiązania antygenu. IL-23 jest cytokiną zaangażowaną w odpowiedź zapalną i immunologiczną. Blokując wiązanie IL-23 z jej receptorem, guselkumab hamuje zależną od IL-23 sygnalizację międzykomórkową i uwalnianie cytokin prozapalnych.

U chorych z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) stężenie IL-23 jest zwiększone w tkance okrężnicy. Guselkumab wykazuje działanie kliniczne

w łuszczycy plackowatej, łuszczycowym zapaleniu stawów i wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego na skutek blokowania szlaków cytokiny IL-23.

Wykazano, że komórki mieloidalne, prezentujące receptor Fc-gamma 1 (CD64), są głównym źródłem IL-23 w tkankach objętych stanem zapalnym w łuszczycy, WZJG i w chorobie Leśniowskiego-Crohna. Wykazano w warunkach *in vitro*, że guselkumab blokuje IL-23 i wiąże się z CD64. Wyniki te wskazują, że guselkumab jest w stanie neutralizować IL-23 w komórkowym komponencie stanu zapalnego.

Produkt leczniczy Tremfya we wnioskowanym wskazaniu nie podlegał dotychczas ocenie AOTMiT.

W ocenianym wniosku, komparatorami guselkumabu są: infliksymab (INF), wedolizumab (WED), tofacytynib (TOF), ustekinumab (UST), filgotynib (FIL), ozanimod (OZA), upadacytynib (UPA) i mirikizumab (MIR).

W ramach analizy klinicznej, do przeglądu systematycznego dla guselkumabu, zidentyfikowano wyłącznie badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo GUS w porównaniu z placebo. Nie zidentyfikowano badań bezpośrednio porównujących interwencję badaną ze wskazanymi komparatorami.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono cztery pierwotne badania z randomizacją, w tym trzy badania porównujące guselkumab z placebo (QUASAR IS-2b, QUASAR IS-3 oraz QUASAR MS) i jedno badanie porównujące terapię skojarzoną guselkumabu z golimumabem względem monoterapii golimumabu lub guselkumabu (VEGA). W celu porównania pośredniego z komparatorami, do NMA włączono także 23 badania obejmujące efekty terapii wymienionymi powyżej komparatorami. Ponadto, wnioskodawca zidentyfikował 6 przeglądów systematycznych (Ananthakrishnan 2024, Chu 2023, Estevinho 2024, Khan 2025, Shehab 2024, Shehab 2025).

Wyniki tych badań i analiz można podsumować następująco:

Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych wykazujących wyższą skuteczność technologii wnioskowanej nad komparatorami refundowanymi w niniejszym wskazaniu. Istotny jest brak badań (typu „head-to-head”) bezpośrednio porównujących GUS z innymi blokerami IL-23. Porównania pośrednie z komparatorami sugerują, że terapia z zastosowaniem GUS daje podobne efekty do terapii komparatorami. Wskazano na dwa wyjątki od tej generalnej reguły. W ocenie remisji klinicznej, wyniki uzyskane w ramach NMA dla GUS 200 mg i.v. Q4W wskazują na istotną statystycznie przewagę UPA 45 mg nad GUS 200 mg [OR 0,26 (95% CrI: 0,07; 0,70)]. Natomiast, w ocenie remisji klinicznej w leczeniu podtrzymującym, uzyskane wyniki wskazują

na istotną statystycznie przewagę GUS 100 lub 200 mg nad FIL 100 mg [GUS 100 mg OR 4,21 (95% CrI: 1,12; 14,73), GUS 200 mg OR 5,30 (95% CrI: 1,27; 20,30)]. FIL (filgotynib) to inhibitor kinaz janusowych, a więc jest to lek o odmiennym mechanizmie działania niż GUS.

Bezpieczeństwo terapii GUS u chorych z WZJG jest na poziomie porównywalnym do placebo.

Wytyczne kliniczne

Jak dotąd, guselkumab pojawił się jedynie w wytycznych amerykańskich – ACG 2025 oraz AGA 2024, które zalecają stosowanie guselkumabu (na równi z mirikizumabem) w celu indukcji remisji, a następnie w celu utrzymania remisji u pacjentów z umiarkowanie lub ciężko aktywnym wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego.

Problem ekonomiczny

W populacji bez wcześniejszego niepowodzenia zaawansowanej terapii oszacowany ICUR dla porównania GUS vs MIRI wyniósł 831 010 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs UST wyniósł 364 584 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs WED wyniósł 298 717 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs TOF wyniósł 260 287 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs FIL wyniósł 349 012 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs OZA wyniósł 215 075 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs UPA wyniósł 380 158 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs INF wyniósł 292 652 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted].

W populacji po niepowodzeniu zaawansowanej terapii oszacowany ICUR dla porównania GUS vs MIRI wyniósł 1 169 764 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs UST wyniósł 1 178 464 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs WED wyniósł 838 215 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs TOF wyniósł 618 454 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs FIL wyniósł 769 536 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs OZA wyniósł 490 431 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; dla porównania GUS vs UPA wyniósł 903 865 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted].

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego:

Prognozowana przez Wnioskodawcę łączna liczba chorych leczonych guselkumabem wynosi [redacted] pacjentów w I roku refundacji oraz [redacted] pacjentów w II roku refundacji.

Opracowania wnioskodawcy wskazały, że objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane ze zwiększeniem wydatków płatnika publicznego. Całkowite wydatki budżetu NFZ w wariantcie prawdopodobnym w I roku analizy zwiększą się o [REDAKTOWANO] (z RSS) oraz 13 690 244 (bez RSS), z kolei w II roku zwiększą się o [REDAKTOWANO] (z RSS) oraz 43 918 127 zł (bez RSS).

Rekomendacje refundacyjne:

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, lek Tremfya jest finansowany w jednym kraju (Niemcy) UE i EFTA (na 30 wskazanych). Poziom refundacji ze środków publicznych w tym kraju wynosi 100%. W Niemczech, finansowanie Tremfya jest ograniczone do choroby Leśniowskiego-Crohna oraz WZJG. [REDAKTOWANO]

[REDAKTOWANO] Należy podkreślić, że w momencie analizy, w pozostałych 29 krajach lek nie był dostępny w obrocie.

Główne argumenty decyzji

- W ramach programu lekowego B.55 refundowana jest już terapia ośmioma lekami biologicznymi, w tym dwoma (ustekinumab, mirikizumab) o mechanizmie działania podobnym lub identycznym z guselkumabem.
- Brak badań RCT bezpośrednio porównujących wnioskowaną technologię z komparatorami i wskazujących na wyższość guselkumabu w porównaniu z innymi lekami stosowanymi w ramach programu B.55.
- Uwzględniając proponowany RSS, koszty terapii są nadal bardzo wysokie i w znacznym stopniu zwiększą potencjalne wydatki płatnika publicznego.
- Z klinicznego punktu widzenia, takie zwiększenie wydatków płatnika publicznego nie znajduje uzasadnienia.

Uwaga Rady

Rada sugeruje rozważenie określenia kolejności stosowania leków biologicznych w ramach programu lekowego B.55., uwzględniając podobne korzyści kliniczne ze stosowania najtańszego infliksymabu w porównaniu z pozostałymi lekami ujętymi w programie. Zdaniem Rady, terapię powinno rozpoczynać się od najtańszego leku.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.423.2.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego B. 55. »Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)«”, data ukończenia: 3.12.2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 180/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumabum) w ramach programu
lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego –
Crohna (ICD-10: K50)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Tremfya (guselkumabum), roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 amp.-strzyk., GTIN: 05413868113006,
- Tremfya (guselkumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 200 mg, 1 fiol., kod GTIN: 05413868126143,
- Tremfya (guselkumabum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 200 mg, 1 wstrzykiwacz, kod GTIN: 05413868126150,
- Tremfya (guselkumabum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 200 mg, 2 wstrzykiwacze, GTIN: 05413868126815,

w ramach programu lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Tremfya we wskazaniu „leczenie dorosłych chorych z chorobą Leśniowskiego-Crohna o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź, utrata odpowiedzi lub nietolerancja na leczenie konwencjonalne lub leczenie lekami biologicznymi” w ramach programu lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50).” Produkt Tremfya został dopuszczony do obrotu przez EMA dn. 10 listopada 2017 r. w innych wskazaniach, natomiast omawiane wskazanie refundacyjne zostało zarejestrowane przez EMA dn. 8 maja 2025 r.

Substancją czynną produktu leczniczego Tremfya jest guselkumab IgG1 λ , tzn. ludzkie przeciwciało monoklonalne (mAb), które selektywnie wiąże się z interleukiną 23 (IL-23) z wysoką swoistością i powinowactwem poprzez miejsce

wiązania antygeny. IL-23 jest cytokiną zaangażowaną w odpowiedź zapalną i immunologiczną. Blokując wiązanie IL-23 z receptorem, guselkumab hamuje zależną od IL-23 sygnalizację międzykomórkową i uwalnianie cytokin prozapalnych. U pacjentów z chorobą Crohna stężenie IL-23 jest zwiększone w tkance okrężnicy. Wyniki wskazują, że guselkumab jest w stanie neutralizować IL-23 w komórkowym źródle stanu zapalnego.

Chorobę Leśniowskiego-Crohna (ChLC) zalicza się do chorób zapalnych przewodu pokarmowego oraz do nieswoistych chorób zapalnych jelit. Charakteryzuje się ona nieswoistymi objawami oraz okresami remisji i nawrotów. ChLC ma przebieg przewlekły, zaostrzenia i remisje występują naprzemiennie, ale też często objawy utrzymują się stale, powodując niepełnosprawność oraz konieczność operacji z powodu powikłań. Przyjmuje się, że przyczyną przewlekłego stanu zapalnego jest współistnienie czynników immunologicznych, środowiskowych i genetycznych. Zapadalność w krajach UE wynosi 5/100 000/rok. ChLC rozpoczyna się zwykle w wieku 15–25 lat lub około 50. r.ż. i występuje z podobną częstością u obu płci.

Produkt leczniczy Tremfya we wnioskowanym wskazaniu nie podlegał dotychczas ocenie AOTMiT.

Jako alternatywne technologie medyczne przyjęto leki finansowane w ramach programu lekowego B.32, tj. infliksymab (INF), adalimumab (ADA), wedolizumab (WED), ustekinumab (UST) oraz upadacytynib (UPA). Wybrane komparatory są zgodne z zaleceniami polskich i zagranicznych wytycznych klinicznych oraz z opinią ekspertów.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego zostały włączone cztery pierwotne badania z randomizacją porównujące skuteczność i bezpieczeństwo guselkumabu (GUS) z UST oraz z placebo (PLC): badanie GALAXI 1 (GUS vs PLC), 2 bliźniacze badania GALAXI-2 i GALAXI-3 (GUS z UST i z PLC) oraz badanie GRAVITI (GUS vs PLC). Ponadto, uwzględniono 16 badań włączonych do metaanalizy sieciowej (NMA) w celu porównania pośredniego z komparatorami, tj. z: GUS (badania GALAXI-1, GALAXI-2, GALAXI-3), INF (ACCENT I), ADA (Chen 2020, GAIN, SEAVUE), UPA (U-EXCEL, U-EXCEED, U-ENDURE), UST (CERTIFI, IM-UNITI, UNITI-1, UNITI-2) oraz WED (GEMINI 2, GEMINI 3). Wnioskodawca odnalazł także 5 przeglądów systematycznych (Attouabi 2024, Avedillo-Salas 2023, Dziegielewski 2025, Singh 2021, Vuyyuru 2023). Ponadto, analiza kliniczna została uzupełniona o przeglądy Al Hayek 2025, Disher 2025, Gorski 2025 oraz Singh 2025.

Porównanie bezpośrednie umożliwiły badania wyłącznie z jednym ze zdefiniowanych komparatorów, tj. ustekinumabem (GALAXI-2 i GALAXI-3). Wyniki oceny remisji klinicznej wskazują na zbliżoną skuteczność

GUS w porównaniu z UST zarówno w fazie indukcji, jak i podtrzymania. Nie odnotowano istotnych statystycznie (IS) różnic pomiędzy grupami w analizowanych punktach końcowych, takich jak: remisja kliniczna, remisja PRO-2, remisja kliniczna wolna od kortykosteroidów, trwała remisja kliniczna, brak odpowiedzi klinicznej oraz zmiana wyniku CDAI względem wartości początkowych. Odnotowano IS przewagę GUS w zakresie występowania odpowiedzi endoskopowej [w badaniu GALAXI-3: ATD (95% CI) 14,1 (2,9; 25,2) oraz wyniki zsumowane dla obydwu badań w populacji ogółem: ATD (95% CI) 10,6 (2,7; 18,5)] oraz występowania remisji endoskopowej [wyniki dla populacji ogółem w badaniu GALAXI-3: ATD (95% CI) 10,9 (2,1; 19,7)]. Odnotowano IS przewagę GUS w zakresie remisji klinicznej i odpowiedzi endoskopowej dla populacji ogółem [w badaniu GALAXI-3: ATD (95% CI) 12,7 (1,7; 23,7) oraz wyniki zsumowane GALAXI-2 i GALAXI-3: ATD (95% CI) 7,8 (0,1; 15,6)] oraz głębokiej remisji [remisja kliniczna + remisja endoskopowa - wyniki zsumowane GALAXI-2 i GALAXI-3: ATD (95% CI) 7,4 (0,3; 14,6)]. W ocenie jakości życia, częstość uzyskania remisji IBDQ była wyższa w grupie GUS w porównaniu z UST i wynosiła odpowiednio ok. 54-59% dla GUS oraz ok. 49-52% dla UST w okresie obserwacji wynoszącym 48 tyg.

Częstość występowania zdarzeń niepożądanych (AE) była porównywalna między GUS a UST w obu badaniach. AE w badaniu GALAXI-2 wystąpiły u 74,1% chorych leczonych GUS i 78,3% leczonych UST, natomiast w badaniu GALAXI-3 – u odpowiednio: 79,0% i 79,1% chorych. Różnice między grupami w zakresie częstości występowania AE były nieistotne statystycznie. W obydwu badaniach nie odnotowano żadnego zgonu w czasie 48 tygodni obserwacji.

Wyniki porównań pośrednich z komparatorami przeprowadzone na podstawie NMA wskazują, że terapia GUS przynosi podobne efekty, przy czym w odniesieniu do kilku punktów końcowych w ocenie skuteczności wykazano IS przewagę nad niektórymi komparatorami. Jednak porównania te należy traktować z ostrożnością, ponieważ charakteryzują się istotnymi ograniczeniami (m.in. większość badań klinicznych była kontrolowana placebo; różnice w efektach leczenia mogą nie być widoczne w fazie indukcji; wyniki remisji klinicznej uzyskane na podstawie NMA wskazują na IS wyższą skuteczność GUS względem UST, natomiast wyniki przedstawione w bad. GALAXI-2/3 nie wykazały IS różnicy między grupami; porównanie postaci podskórnej GUS z komparatorami nie jest dostępne, itd.).

Wytyczne kliniczne

Po dacie rejestracji ocenianej interwencji zostały opublikowane jedynie rekomendacje amerykańskie (ACG 2025). Wytyczne te zalecają stosowanie postaci dożylniej GUS w celu indukcji remisji, a następnie podskórnego GUS w celu utrzymania remisji u pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postacią aktywnej

ChLC oraz stosowanie podskórnego GUS w celu indukcji i utrzymania remisji u pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postacią aktywnej ChLC.

Problem ekonomiczny

Prognozowana przez wnioskodawcę liczba chorych leczonych guselkumabem wynosi [redacted] w I roku refundacji oraz [redacted] w II roku refundacji.

W populacji bez wcześniejszego niepowodzenia zaawansowanej terapii oszacowany ICUR wyniósł dla porównania: GUS vs ADA - 610 022 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs INF - 602 537 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs UPA - 607 850 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs UST - 825 738 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; a GUS vs WED - 597 936 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted].

W populacji po niepowodzeniu zaawansowanej terapii oszacowany ICUR wyniósł dla porównania: GUS vs ADA - 566 626 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs INF - 604 767 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs UPA - 567 443 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; GUS vs UST - 1 104 454 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted]; a GUS vs WED - 573 127 zł/QALY (bez RSS) oraz [redacted].

Według wnioskodawcy, refundacja ocenianej interwencji będzie związana ze zwiększeniem wydatków płatnika publicznego. Całkowite wydatki budżetu NFZ w wariantcie prawdopodobnym w I roku analizy wyniosą [redacted] i 6 847 102 (bez RSS), a w II roku [redacted] i 23 341 221 zł (bez RSS).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 3 pozytywne rekomendacje refundacyjne (G-BA 2025, NICE 2025, PBAC 2025), w których zwrócono głównie uwagę na wyniki badań GALAXI 2/3 oraz na znaczący wpływ dostępności nowych opcji terapeutycznych dla pacjentów z ChLC. Znaleziono też jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2025); warunkiem jest obniżenie ceny leku Tremfya.

Według wnioskodawcy produkt leczniczy Tremfya jest finansowany w jednym (Niemcy) kraju UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji

- Bezpośrednie badanie porównawcze tylko z jednym z pięciu dostępnych komparatorów;
- Brak badań rzeczywistej praktyki klinicznej, ze względu na niedawną rejestrację wnioskowanego wskazania;
- Refundacja tylko w jednym kraju UE i EFTA;
- Brak efektywności kosztowej i istotne zwiększenie wydatków płatnika publicznego.

Uwaga Rady

Rada sugeruje rozważenie określenia kolejności stosowania leków biologicznych w ramach programu lekowego B.32., uwzględniając podobne korzyści kliniczne ze stosowania najtańszego infliksymabu w porównaniu z pozostałymi lekami ujętymi w programie. Zdaniem Rady, terapię powinno rozpoczynać się od najtańszego leku.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.423.2.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego: B.32. Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50)”, data ukończenia: 3.12.2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 181/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Welireg (belzutyfan) w ramach programu
lekowego „Leczenie pacjentów z chorobą Von Hippel-Lindau
(ICD 10: Q85.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Welireg (belzutyfan), tabletki powlekane, 40 mg, 90 szt., GTIN: 0019177802441, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z chorobą Von Hippel-Lindau (ICD-10: Q85.8)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka, tak aby koszty ponoszone na leczenie pacjentów z tą chorobą za pomocą tej substancji (import docelowy, RDTL) nie uległy zwiększeniu.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- W punkcie 2 ograniczenie wskazań do chorych z ulegającą progresji chorobą, u których nie jest możliwe zastosowanie leczenia chirurgicznego, radykalnej radioterapii lub innych metod terapeutycznych stosowanych w leczeniu nowotworów związanych z chorobą VHL (fotokoagulacja laserowa, analogi somatostatyny, ewerolimus, sunitynib, cytostatyki).*
- Kwalifikacja powinna odbywać się na podstawie decyzji interdyscyplinarnego zespołu kwalifikacyjnego.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Belzutyfan jest inhibitorem czynnika transkrypcyjnego indukowanego niedotlenieniem 2 alfa (ang. HIF-2 α , hypoxia-inducible factor 2 alpha). Przy prawidłowych stężeniach tlenu HIF-2 α jest celem degradacji przez białko VHL. Zaburzenie funkcji białka VHL prowadzi do akumulacji HIF-2 α . W konsekwencji HIF-2 α przemieszcza się do jądra i reguluje geny odpowiedzialne za ekspresję, związane z proliferacją komórek, angiogenezą i wzrostem guza. Belzutyfan wiąże się z HIF-2 α i w warunkach niedotlenienia lub zaburzenia funkcji białka VHL blokuje interakcje HIF-2 α -HIF-1 β , co prowadzi do ograniczonej transkrypcji i ekspresji genów docelowych HIF-2 α .

Choroba von Hippel-Lindau (VHL) jest rzadkim zespołem dziedzicznym spowodowanym mutacjami germinalnymi genu supresorowego nowotworów,

który jest przekazywany w sposób autosomalny dominujący. Zaburzenie to występuje u około jednego na 36 000 żywych urodzeń. Rozwój nowotworów wynika z inaktywacji lub utraty pozostałego allelu typu dzikiego w podatnej komórce. Osoby dotknięte chorobą są narażone przez całe życie na ryzyko rozwoju nowotworów i wypełnionych płynem woreczków (torbieli) w kilku narządach, w tym w nerkach, mózgu i rdzeniu kręgowym, trzustce i siatkówce. Nowotwory często występują jednocześnie w wielu narządach w postaci wieloogniskowej, a chorzy są narażeni na ryzyko rozwoju nawracających nowotworów przez całe życie.

Alternatywną technologię medyczną do ocenianej technologii stanowi aktywny nadzór. Wskazany komparator, stanowi aktualny standard leczenia w świetle rekomendacji klinicznych oraz stanowisko eksperta.

Produkt leczniczy Welireg był oceniany w Agencji w 2023 roku, ocena dotyczyła zasadności wydawania zgód na refundacje we wskazaniach: zespół von Hippel-Lindau (VHL), zespół von Hippel-Lindau (VHL) w przypadku wysokiego ryzyka radioterapii oraz leczenia operacyjnego guzów (BIP: 6/2023). Stanowisko Rady (nr 50/2023 z dnia 8 maja 2023 roku) oraz opinia Prezesa AOTMiT (Rekomendacja nr 50/2023 z dnia 9 października 2023 r.) były pozytywne, pod warunkiem ograniczenia wskazań do chorych z ulegającą progresji chorobą, u których nie jest możliwe zastosowanie leczenia chirurgicznego, radykalnej radioterapii lub innych metod terapeutycznych stosowanych w leczeniu nowotworów związanych z chorobą VHL (fotokoagulacja laserowa, analogi somatostatyny, ewerolimus, sunitynib, cytostatyki). Rozpoznanie choroby VHL powinno być potwierdzone poprzez wykrycie mutacji germlinalnej VHL.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono: badanie jednoramienne LITESPARK-004 (ocena belzutyfanu [BLZ]), badanie RWD VHL Natural History Study (dane na temat skuteczności komparatora - aktywnego nadzoru [AS, ang. active surveillance] – w populacji pacjentów z guzami nerki), 10 badań RWD (ocena belzutyfanu) oraz 5 przeglądów systematycznych. Włączone badania zawierały istotne ograniczenia. Jedynie jakość metodologiczna badania LITESPARK-004 została oceniona wysoko – 8/8 punktów w skali NICE. Jakość metodologiczną badań obserwacyjnych (RWD) oceniono jako umiarkowaną (od 5 do 6/8 punktów w skali NICE), a wszystkie przeglądy systematyczne otrzymały „krytycznie niską” ocenę w skali AMSTAR II.

W wieloośrodkowym, jednoramiennej badaniu 2. fazy LITESPARK-004 (NCT03401788) wzięło udział 61 pacjentów – u wszystkich stwierdzono obecność RCC związanych z VHL, natomiast u 36% odnotowano obecność nowotworów trzustki (pNET), u 82% naczynek zarodkowych OUN, a u 23% naczynek siatkówki (ocena wg IRC - niezależnego komitetu oceniającego, Srinivasan 2025).

Z badania (dane zaraportowane dla DCO: 03.04.2023) utracono 25 pacjentów spośród 61 (41%), w tym ze względu na: decyzję pacjenta (n=11), progresję RCC związanego z VHL (n=7), AE (n=2), zgon (samobójstwo, n=1, przedawkowanie fentanylu, n=1), ciężę (n=1) oraz decyzję badacza (n=2). Jakość metodologiczną badania oceniono wysoko – 8/8 punktów w skali NICE. Wyniki analizy badania LITESPARK-004 dla 5-letniego okresu obserwacji (mediana FU: 61,8 mies.) wykazały, że w badanej populacji pacjentów z RCC związanym z VHL odpowiedź na leczenie (ORR; I-rzędowy punkt końcowy) osiągnęło 70% pacjentów, a CR stwierdzono u 11% chorych. U wszystkich pacjentów, którzy uzyskali odpowiedź, utrzymywała się ona przez co najmniej 12 mies., a u 76% z nich przez ponad 48 mies. Mediana DOR nie została osiągnięta.

Przeprowadzono dodatkowe analizy z uwzględnieniem podgrup pacjentów wykazujących także pozanerkowe manifestacje choroby. W analizie dotyczącej zmian OUN wskaźnik ORR wyniósł 50%, a CR stwierdzono u 12% pacjentów. U 82% chorych, u których uzyskano odpowiedź, utrzymywała się ona przez co najmniej 48 mies. Mediana DOR nie została osiągnięta. W przypadku pNET wskaźnik ORR osiągnął 90%, a CR stwierdzono u 65% pacjentów. U 94% pacjentów pozostających pod obserwacją odpowiedź utrzymywała się przez ponad 48 mies. Mediana DOR nie została osiągnięta. Poprawę w ocenie okulistycznej odnotowano u wszystkich pacjentów z naczyniakami siatkówki, a mediana DOR w analizowanym okresie obserwacji nie została osiągnięta. Dane dotyczące odsetka odpowiedzi całkowitych (CR), nie były dostępne w momencie analizy.

Dla porównania, w grupie objętej AS (VHL-NHS) ORR wyniósł 2%, a CR nie zaobserwowano u żadnego pacjenta w okresie obserwacji. Jednocześnie u 20% pacjentów z grupy AS najlepszą odnotowaną odpowiedzią była PD – czego nie raportowano u żadnego z pacjentów leczonych belzutyfanem.

W badaniu LITESPARK-004 mediana PFS (przeżycie wolne od progresji) wśród pacjentów leczonych BLZ nie została osiągnięta w ciągu 5-letniego okresu obserwacji,

Prawdopodobieństwo braku progresji po 24 mies. wyniosło 96% w grupie BLZ i 69% w grupie AS. Skuteczność leczenia BLZ utrzymywała się również w dłuższym horyzoncie czasowym – po 48 mies. (najdłuższy dostępny punkt czasowy) odsetek pacjentów bez progresji wynosił 81%. Dla grupy objętej jedynie AS nie raportowano danych z 48. mies., natomiast po 24 mies. odsetek pacjentów bez progresji był niższy (69%) niż w grupie BLZ po dwukrotnie dłuższym okresie obserwacji (81%). Dodatkowo, dane z 60. i 72. mies. wskazują na dalszy spadek prawdopodobieństwa PFS w grupie AS – odpowiednio do 37% i 32%.

W badaniu LITESPARK-004 wykazano, że terapia BLZ prowadzi do regresji wielkości guzów nerki, co potwierdza ujemna wartość mediany rocznego

wskaźnika zmiany rozmiaru guza: -3,0 [-5,0; -1,2] mm/rok. Dla porównania, w grupie pacjentów objętych AS (badanie VHL-NHS) mediana tego wskaźnika wyniosła 1,6 [0,7; 2,4] mm/rok, co wskazuje na stopniowy wzrost guzów u osób nieleczonych. W grupie tej powiększenie zmiany odnotowano w przypadku 91% obserwowanych guzów.

Dane pochodzące z rzeczywistej praktyki klinicznej (badania RWD) potwierdzają skuteczność belzutyfanu w leczeniu nowotworów związanych z VHL. Wskaźnik odpowiedzi dla RCC wynosił 72-73%, co stanowi skuteczność porównywalną z wynikami badania klinicznego. W przypadku naczyńiaków OUN odsetek ten mieścił się w przedziale 47-89%, wskazując na co najmniej równą, a miejscami wyższą skuteczność niż w badaniu klinicznym. W przypadku pNET związanych z VHL wyniki dwóch badań RWD były rozbieżne – w jednym odpowiedź odnotowano u 71% pacjentów, natomiast w drugim, obejmującym niewielką próbę, odpowiedź uzyskano u 18% chorych. Niewykluczone, że przyczyną tej rozbieżności mogą być czynniki losowe wynikające z małej liczebności próby. Po uśrednieniu wyników obu badań RWD wskaźnik ORR wynosi 56%, co stanowi wartość liczbowo niższą niż ta obserwowana w badaniu klinicznym (90%).

Dwa badania RWD oceniały skuteczność BLZ w leczeniu naczyńiaków siatkówki. W badaniu Stephenson 2025 odnotowano, że w trakcie terapii BLZ nie pojawiły się nowe zmiany naczyniowe, utrzymywała się stabilna ostrość wzroku, a pacjenci nie wymagali zabiegów ablacyjnych w okresie leczenia. Nie raportowano wskaźników odpowiedzi zgodnych z definicjami przyjętymi w badaniu LITESPARK-004. W drugim badaniu, Jamshidi 2024, odpowiedź terapeutyczną stwierdzono u 43% pacjentów z naczyńiakami siatkówki, w porównaniu z odpowiedzią wynoszącą 100% w badaniu klinicznym.

Analiza bezpieczeństwa

W badaniu LITESPARK-004, zarówno AE, jak i AE związane z leczeniem, wystąpiły u wszystkich pacjentów (100%). U większości z nich miały one charakter łagodny lub umiarkowany – AE stopnia 3–5 odnotowano u 49%, natomiast SAE (poważne zdarzenia niepożądane) zgłoszono u 33% osób. Żadne z AE stopnia 4. ani 5., w tym AE prowadzące do zgonu, nie zostały ocenione przez badaczy jako związane z leczeniem. U 10 pacjentów (23%) konieczne było dostosowanie dawkowania belzutyfanu z powodu AE.

W badaniach RWD profil bezpieczeństwa belzutyfanu pozostawał zgodny z danymi z badań klinicznych. Najczęściej raportowane AE obejmowały: niedokrwistość (57-100%), zmęczenie (29-100%) oraz zawroty głowy (14-100%). U części pacjentów (8-60%) AE wymagały dostosowania dawki belzutyfanu. W badaniach uwzględniających raportowanie SAE, nie odnotowano takich zdarzeń. Wśród AE stopnia 3-5 zidentyfikowano pojedyncze przypadki zdarzeń

zakwalifikowanych jako ≥ 3 . stopnia w badaniu Amaral 2025, obejmujące zmęczenie, niedotlenienie oraz wysięk osierdziowy ($n=1$ dla każdego z tych zdarzeń).

Wytyczne kliniczne

Europejskie, amerykańskie i międzynarodowe wytyczne praktyki klinicznej wskazują możliwość stosowania belzutofanu w terapii zgodnie ze wskazaniami w ocenianym wniosku.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z wynikami CUA wnioskodawcy zastosowanie leku Welireg w miejsce aktywnego nadzoru jest [REDACTED]. Oszacowany ICUR dla porównania Welireg vs aktywny nadzór wyniósł [REDACTED] w wariancie z RSS oraz 1 113 124 zł/QALY w wariancie bez RSS. W obydwu przypadkach wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Oszacowana przez wnioskodawcę progowa cena zbytu netto (CZN) leku Welireg wynosi [REDACTED] w wariancie z RSS oraz [REDACTED] w wariancie bez RSS i jest [REDACTED] od wnioskowanej ceny zbytu netto.

W związku z nieprzedstawieniem randomizowanego badania klinicznego dowodzącego wyższości leku wnioskowanego nad technologią medyczną dotychczas refundowaną w danym wskazaniu (tj. aktywnym nadzorem) w opinii analityków Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji. Wnioskodawca przedstawił w analizie wymaganej w takim przypadku kalkulację. CZN leku Welireg oszacowana zgodnie z zapisami art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji wynosi [REDACTED] w wariancie z RSS oraz [REDACTED] w wariancie bez RSS.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, liczebność populacji docelowej, która rozpocznie leczenie w kolejnych latach horyzontu analizy wyniosła [REDACTED] w 2026 r., oraz [REDACTED] w 2027 r. i [REDACTED] 2028 r.

W wariancie podstawowym koszty inkrementalne bez uwzględnienia RSS wyniosą w pierwszym roku refundacji ok. 35 mln zł, w drugim roku ok. 53 mln zł, a w trzecim roku ok. 54 mln zł. Koszty inkrementalne z uwzględnieniem RSS wyniosą ok. [REDACTED] w pierwszym roku refundacji, ok. [REDACTED] w drugim roku refundacji i ok. [REDACTED] w trzecim roku refundacji.

Główne ograniczenia analizy dotyczą braku wiarygodnych danych pozwalających na oszacowanie populacji docelowej w warunkach polskich. Oszacowania zostały przeprowadzone w poparciu o zagraniczne dane epidemiologiczne oraz opinie ekspertów, co w dużym stopniu wpływa na niepewności dotyczące przedstawionych wyników.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje pozytywne (HAS 2025, PBAC 2024, SMC 2023) oraz dwie warunkowo pozytywne (CADTH 2023, NICE 2024). W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na: istniejącą niezaspokojoną potrzebę medyczną w ocenianej populacji; obserwowaną poprawę skuteczności (w porównaniu z aktywną obserwacją) obciążoną niepewnością (brak badań porównawczych z technologią alternatywną); niepewność oszacowania efektywności kosztowej ze względu na ograniczone dane kliniczne. W dokumencie G-Ba 2025 wskazano na brak odpowiednich danych do oceny korzyści.

Główne argumenty decyzji:

- Niezaspokojona potrzeba medyczna w ocenianej populacji;
- Wyniki badań klinicznych niskiej i średniej jakości wskazują na skuteczność terapii, w zakresie odpowiedzi na leczenie, przeżycia wolnego od progresji, zmniejszenia wielkości guza;
- Dane pochodzące z rzeczywistej praktyki klinicznej potwierdzają skuteczność belzutyfanu w ocenianym wskazaniu i korzystny profil bezpieczeństwa;
- Międzynarodowe wytyczne praktyki klinicznej wskazują na stosowanie belzutyfanu jako alternatywy w terapii zgodnej z wnioskowanym wskazaniem;
- Pozytywne (HAS 2025, PBAC 2024, SMC 2023) i warunkowo pozytywne (CADTH 2023, NICE 2024) rekomendacje refundacyjne;
- Duże obciążenie płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DAS.423.1.10.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Welireg (belzutyfan) w programie lekowym: »Leczenie pacjentów z chorobą Von Hippel-Lindau (ICD 10: Q85.8)«”; data ukończenia: 5 grudnia 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 907, 1192) 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, 1192).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 182/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Tecentriq (atezolizumab i.v.) we wskazaniu:
leczenie 1. linii dorosłych z zaawansowanym niedrobnokomórkowym
rakiem płuca, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych
na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej
(ICD-10 C45)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Tecentriq (atezolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 840 mg, 1 fiol. à 14 ml, GTIN 07613326025546;*
- *Tecentriq (atezolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1200 mg, 1 fiol. à 20 ml, GTIN 05902768001167,*

we wskazaniu: leczenie 1. linii dorosłych chorych na zaawansowanego niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP), którzy nie kwalifikują się do leczenia opartego na pochodnych platyny, niezależnie od wartości ekspresji PD-L1, w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Tecentriq (atezolizumab i.v.), we wskazaniu leczenie 1. linii dorosłych chorych na zaawansowanego niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP), którzy nie kwalifikują się do leczenia opartego na pochodnych platyny, niezależnie od wartości ekspresji PD-L1, w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Tecentriq (atezolizumab) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Zaproponowano instrument podziału ryzyka. Zaawansowany niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP) to najczęstszy typ raka płuca, stanowiący ok. 80-85% przypadków. Choroba zwykle rozpoznawana jest w późnym stadium (III-IV), kiedy leczenie radykalne nie jest możliwe, a celem terapii jest wydłużenie życia i poprawa jego jakości.

Kluczowym czynnikiem prognostycznym NDRP jest początkowy stopień zaawansowania nowotworu, natomiast w zaawansowanym stadium, istotne są też stan sprawności pacjenta i utrata masy ciała.

Rokowanie w późnym stadium choroby jest niekorzystne a w Polsce rak płuca pozostaje główną przyczyną zgonów onkologicznych, z ponad 20 tys. nowych zachorowań rocznie. Szacuje się, że ok. 50% nowo zdiagnozowanych pacjentów to osoby w wieku ≥ 65 lat.

Leczenie pierwszej linii obejmuje głównie chemioterapię opartą na platynie, immunoterapię (np. inhibitory PD-1/PD-L1) oraz terapie celowane w przypadku obecności mutacji (EGFR, ALK). Komparatorem jest standardowa chemioterapia (CTH) jednolekowa. W analizach wnioskodawcy ograniczono wybór do leków stosowanych w badaniu IPSOS, tj. do monoterapii gemcytabiną lub winorelbiną pomimo, że dostępne są także inne leki tj.: docetaksel i pemetreksed (także chemioterapią).

Atezolizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym z klasy immunoglobulin G1 (IgG1), o zmodyfikowanym regionie Fc, które wiążąc się bezpośrednio z PD-L1 zapewnia podwójną blokadę dla receptorów PD-1 i B7.1 i uwalnia zahamowaną odpowiedź immunologiczną występującą za pośrednictwem PD-L1/PD-1, w tym reaktywację przeciwnowotworowej odpowiedzi immunologicznej bez wywoływania działań cytotoksycznych zależnych od przeciwciał. Atezolizumab nie wpływa na interakcję PD-L2/PD-1, co pozwala na utrzymywanie się sygnałów hamujących występujących za pośrednictwem PD-L2/PD-1. Przedmiotowa technologia jest refundowana w następujących PL: B.5 Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego lub raka dróg żółciowych oraz B.6 Leczenie chorych na raka płuca oraz międzybłoniaka opłucnej. W tym wskazaniu technologia nie podlegała ocenie. Lek dopuszczono do obrotu w dniu 21.09.2017 r. (ostatnie przedłużenie pozwolenia: 25.04.2022 r.) a rozszerzenie wskazania o wnioskowane nastąpiło decyzją z dnia 26.08.2024 r.

Dowody naukowe

Kluczowe wyniki analizy skuteczności klinicznej monoterapii atezolizumabem (ATE) w zakresie leczenia 1. linii zaawansowanego NDRP u dorosłych pacjentów niekwalifikujących się do leczenia pochodnymi platyny zostały przedstawione na podstawie: otwartego badania randomizowanego z grupą kontrolną – RCT IPSOS. Do ww. badania zrandomizowano 453 pacjentów (populacja ITT), odpowiednio do grupy interwencji ATE (1200 mg i.v. co 21 dni; n=302), lub do grupy kontrolnej chemioterapii (CTH) jednolekowej (winorelbina lub gemcytabina; n=151). Populacja była głównie w wieku ≥ 70 lat (mediana 75 lat), z przewagą ECOG 2 (ok. 75%) i licznymi chorobami współistniejącymi; ponad 86% chorych miało IV stadium choroby.

Pierwszorzędowym punktem końcowym było przeżycie całkowite (OS), a w wśród drugorzędowych punktów końcowych oceniano wskaźniki dot. odpowiedzi na leczenie (ORR, DOR), przeżycie wolne od progresji (PFS), jakość życia i bezpieczeństwo. Mediana obserwacji wyniosła 41 miesięcy. Ze względu na niewystarczająco ścisłe kryteria włączenia w zakresie niekwalifikowania się do chemioterapii dwulekowej EMA przeprowadziła dodatkową analizę (ad hoc) w populacji „niekwalifikującej się do leczenia platyną” (ok. 89% uczestników, dalej zwaną populacją EMA, spełniającą bardziej restrykcyjne kryteria włączenia do leczenia niż pierwotnie w RCT IPSOS), aby zwiększyć reprezentatywność wyników. Monoterapia ATE wydłużyła medianę przeżycia całkowitego (OS) o ok. 1 miesiąc względem CTH jednolekowej (10,3 vs 9,2 mies.; $HR=0,78$ [95%CI: 0,63; 0,97], $p=0,028$) w populacji ITT, a wyniki w populacji EMA były zbliżone. Różnica ta nie osiągnęła szacowanego przez ekspertów prognozy istotności klinicznej (MCID ok. 4-5 mies.). Analizy podgrup wskazały na istotną statystycznie przewagę ATE w wybranych grupach, m.in. wiek 70-79 lat, płeć męska, brak przerzutów do mózgu i wątroby. Krzywe Kaplana-Meiera (K-M) wykazały wczesne skrzyżowanie, co może wynikać z dynamiki działania immunoterapii; interpretacja HR wymaga ostrożności i uwzględnienia naruszenia proporcjonalności hazardu. Jednak analizy wrażliwości potwierdziły wyniki główne. W przypadku dłuższej obserwacji, odnotowano podwojenie odsetka 2-letniego OS w populacji ITT na korzyść ATE (różnica 11,9 p.p.), gdzie prawdopodobieństwo przeżycia przez co najmniej 24 mies. oszacowano na 24,3% dla grupy ATE vs 12,4% w grupie CTH jednolekowej.

Mediana PFS była zbliżona w obu grupach: 4,2 mies. dla ATE vs 4 mies. dla CTH ($HR = 0,87$ [95%CI: 0,70; 1,07], $p=0,182$), bez różnic w zakresie istotności statystycznej i klinicznej. Podobne wyniki uzyskano w populacji EMA. W analizach podgrup istotną statystycznie różnicę w HR na rzecz ATE odnotowano jedynie dla mężczyzn, pacjentów bez przerzutów do wątroby oraz przy nieznanym poziomie PD-L1. Wczesne skrzyżowanie krzywych K-M wskazuje na specyfikę działania immunoterapii, a standardowa ocena PFS (RECIST v1.1) nie uwzględnia zjawiska pseudoprogresji, dlatego OS pozostaje preferowanym punktem końcowym w tego rodzaju badaniach. Prawdopodobieństwo PFS przez co najmniej 12 lub 24 miesięcy wynosiło odpowiednio 20 vs 14% i 9 vs 2% w grupach ATE vs CTH.

Monoterapia ATE istotnie statystycznie zwiększa odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie (ORR) w porównaniu z CTH ($RR=2,13$ [95%CI: 1,17; 3,86], $p=0,0135$ w populacji ITT oraz $RR=2,28$ [95%CI: 1,22; 4,24], $p=0,0094$ w populacji EMA). Różnice dotyczą głównie odpowiedzi częściowej (PR), natomiast odpowiedź całkowita (CR) jest bardzo rzadka w obu grupach (ok. 1% w grupie ATE; 0% w grupie CTH).

Mediana czasu trwania odpowiedzi (DOR) była ponad 2-krotnie dłuższa w grupie leczonej ATE w porównaniu do CTH jednolekowej – odpowiednio 14 mies. vs 7,8 mies. w populacji ITT (HR=0,40 [95%CI: 0,19; 0,85], p=0,014). Wartości te były porównywalne w populacji EMA.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono cztery dokumenty aktualnych wytycznych klinicznych, tj. rekomendacje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK 2025), American Society of Clinical Oncology (ASCO 2025), National Comprehensive Cancer Network (NCCN 2025; ver. 1 2026) oraz European Society of Medical Oncology (ESMO 2025). Dla chorych na NDRP w zaawansowanym stadium IV z wysoką ekspresją PD-L1 ($\geq 50\%$) i bez mutacji EGFR/ALK/ROS1, standardem jest monoterapia inhibitorami punktów kontrolnych (ICI): pembrolizumab, atezolizumab lub cemiplimab. W wybranych przypadkach można rozważyć połączenie z chemioterapią. Przy niższej ekspresji PD-L1 (1–49%) preferowane są schematy skojarzone z ICI i chemioterapią. Ponadto zgodnie z wytycznymi ESMO 2025, u pacjentów z ECOG ≥ 2 lub w wieku >70 lat z chorobami współistniejącymi, atezolizumab może być rozważony, nawet niezależnie od PD-L1.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie ATE w miejsce CTH jest droższe i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR wyniósł 408 tys. zł bez uwzględniania zaproponowanego RSS i [REDACTED] zł z RSS. Aktualna wysokość progu użyteczności kosztowej to 244 821 zł/QALY.

Należy zaznaczyć, że w ramieniu CTH uwzględniono stosowanie wyłącznie winorelbiny i gemcytabiny.

Wnioskodawca przedstawił RCT dowodzące wyższości wnioskowanej technologii nad refundowanym komparatorem, zatem nie zachodzą okoliczności opisane w art. 13 ust. 3 UoR.

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego

W analizie przyjęto 4-letni horyzont czasowy obejmujący okres od 2026 roku. Liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym oszacowano na [REDACTED]

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Tecentriq w wariantcie bez RSS spowoduje wzrost wydatków NFZ o 17,58 mln zł w I roku, o 34,08 mln zł w II roku, o 47,57 mln zł w III roku i o 52,04 mln zł w IV roku refundacji. Wnioskodawca nie ujął natomiast w analizie wpływu na budżet wszystkich refundowanych obecnie komparatorów.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje refundacyjne dla przedmiotowego wskazania: negatywne – francuską HAS 2025 i duńską Medicinradet 2025 oraz niemiecką G-Ba 2025, pozytywną dla populacji pacjentów z ekspresją PD-L1 <50% TC, lecz negatywną dla populacji pacjentów z ekspresją PD-L1 ≥50% TC. W ww. rekomendacjach wskazuje się na brak danych wskazujących na korzyść kliniczną oraz zastrzeżenia dot. kryteriów włączenia do badania klinicznego. G-Ba uznaje równocześnie, że w populacji z ekspresją PD-L1 <50% TC stosowanie atezolizumabu wiąże się z niewielką dodatkową korzyścią kliniczną, uzasadniającą jego refundację w tej grupie chorych.

Główne argumenty decyzji:

- *Nie wykazano korzyści istotnej klinicznie tak w obszarze OS jak i PFS,*
- *Rekomendacje refundacyjne negatywne bądź wskazujące na znikomą korzyść dla specyficznej grupy pacjentów, trudnej do wydzielenia na podstawie wyników badania,*
- *Nie odnaleziono danych potwierdzających skuteczność praktyczną wnioskowanego leczenia ani odpowiednich przeglądów systematycznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DAS.423.1.9.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tecentriq (atezolizumab i.v.) we wskazaniu leczenie 1. linii dorosłych z zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)«”; data ukończenia: 03.12.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Polska sp. z o.o. zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 183/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Tecentriq (atezolizumab s.c.) we wskazaniu
leczenie 1. linii dorosłych z zaawansowanym niedrobnokomórkowym
rakiem płuca, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych
na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej
(ICD-10 C45)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego: Tecentriq (atezolizumab), roztwór do wstrzykiwań, 1875 mg, 1 fiol., GTIN: 07613326061872, we wskazaniu: leczenie 1. linii dorosłych chorych na zaawansowanego niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP), którzy nie kwalifikują się do leczenia opartego na pochodnych platyny, niezależnie od wartości ekspresji PD-L1, w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Tecentriq (atezolizumab s.c.), we wskazaniu leczenie 1. linii dorosłych chorych na zaawansowanego niedrobnokomórkowego raka płuca (NDRP), którzy nie kwalifikują się do leczenia opartego na pochodnych platyny, niezależnie od wartości ekspresji PD-L1, w ramach programu lekowego B.6 „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)”.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Tecentriq (atezolizumab) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Zaproponowano instrument podziału ryzyka. Zaawansowany niedrobnokomórkowy rak płuca (NDRP) to najczęstszy typ raka płuca, stanowiący ok. 80-85% przypadków. Choroba zwykle rozpoznawana jest w późnym stadium (III-IV), kiedy leczenie radykalne nie jest możliwe, a celem terapii jest wydłużenie życia i poprawa jego jakości.

Kluczowym czynnikiem prognostycznym NDRP jest początkowy stopień zaawansowania nowotworu, natomiast w zaawansowanym stadium, istotne są też stan sprawności pacjenta i utrata masy ciała.

Rokowanie w późnym stadium choroby jest niekorzystne a w Polsce rak płuca pozostaje główną przyczyną zgonów onkologicznych, z ponad 20 tys. nowych

zachorowań rocznie. Szacuje się, że ok. 50% nowo zdiagnozowanych pacjentów to osoby w wieku ≥ 65 lat.

Leczenie pierwszej linii obejmuje głównie chemioterapię opartą na platynie, immunoterapię (np. inhibitory PD-1/PD-L1) oraz terapie celowane w przypadku obecności mutacji (EGFR, ALK). Komparatorem jest standardowa chemioterapia (CTH) jednolekowa. W analizach wnioskodawcy ograniczono wybór do leków stosowanych w badaniu IPSOS, tj. do monoterapii gemcytabiną lub winorelbina pomimo, że dostępne są także inne leki tj.: docetaksel i pemetreksed (także chemioterapia).

Atezolizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym z klasy immunoglobulin G1 (IgG1), o zmodyfikowanym regionie Fc, które wiążąc się bezpośrednio z PD-L1 zapewnia podwójną blokadę dla receptorów PD-1 i B7.1 i uwalnia zahamowaną odpowiedź immunologiczną występującą za pośrednictwem PD-L1/PD-1, w tym reaktywację przeciwnowotworowej odpowiedzi immunologicznej bez wywoływania działań cytotoksycznych zależnych od przeciwciał. Atezolizumab nie wpływa na interakcję PD-L2/PD-1, co pozwala na utrzymywanie się sygnałów hamujących występujących za pośrednictwem PD-L2/PD-1. Przedmiotowa technologia jest refundowana w następujących PL: B.5 Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego lub raka dróg żółciowych oraz B.6 Leczenie chorych na raka płuca oraz międzybłoniaka opłucnej. W tym wskazaniu technologia nie podlegała ocenie. Lek dopuszczono do obrotu w dniu 21.09.2017 r. (ostatnie przedłużenie pozwolenia: 25.04.2022 r.) a rozszerzenie wskazania o wnioskowane nastąpiło decyzją z dnia 26.08.2024 r.

Dowody naukowe

Kluczowe wyniki analizy skuteczności klinicznej monoterapii atezolizumabem (ATE) w zakresie leczenia 1. linii zaawansowanego NDRP u dorosłych pacjentów niekwalifikujących się do leczenia pochodnymi platyny zostały przedstawione na podstawie: otwartego badania randomizowanego z grupą kontrolną – RCT IPSOS. Do ww. badania zrandomizowano 453 pacjentów (populacja ITT), odpowiednio do grupy interwencji ATE (1200 mg i.v. co 21 dni; $n=302$), lub do grupy kontrolnej chemioterapii (CTH) jednolekowej (winorelbina lub gemcytabina; $n=151$). Populacja była głównie w wieku ≥ 70 lat (mediana 75 lat), z przewagą ECOG 2 (ok. 75%) i licznymi chorobami współistniejącymi; ponad 86% chorych miało IV stadium choroby.

Pierwszorzędowym punktem końcowym było przeżycie całkowite (OS), a w wśród drugorzędowych punktów końcowych oceniano wskaźniki dot. odpowiedzi na leczenie (ORR, DOR), przeżycie wolne od progresji (PFS), jakość życia i bezpieczeństwo. Mediana obserwacji wyniosła 41 miesięcy. Ze względu na niewystarczająco ścisłe kryteria włączenia w zakresie niekwalifikowania

się do chemioterapii dwulekowej EMA przeprowadziła dodatkową analizę (ad hoc) w populacji „niekwalifikującej się do leczenia platyną” (ok. 89% uczestników, dalej zwaną populacją EMA, spełniającą bardziej restrykcyjne kryteria włączenia do leczenia niż pierwotnie w RCT IPSOS), aby zwiększyć reprezentatywność wyników. Monoterapia ATE wydłużyła medianę przeżycia całkowitego (OS) o ok. 1 miesiąc względem CTH jednolekowej (10,3 vs 9,2 mies.; $HR=0,78$ [95%CI: 0,63; 0,97], $p=0,028$) w populacji ITT, a wyniki w populacji EMA były zbliżone. Różnica ta nie osiągnęła szacowanego przez ekspertów prognozy istotności klinicznej (MCID ok. 4-5 mies.). Analizy podgrup wskazały na istotną statystycznie przewagę ATE w wybranych grupach, m.in. wiek 70-79 lat, płeć męska, brak przerzutów do mózgu i wątroby. Krzywe Kaplana-Meiera (K-M) wykazały wczesne skrzyżowanie, co może wynikać z dynamiki działania immunoterapii; interpretacja HR wymaga ostrożności i uwzględnienia naruszenia proporcjonalności hazardu. Jednak analizy wrażliwości potwierdziły wyniki główne. W przypadku dłuższej obserwacji, odnotowano podwojenie odsetka 2-letniego OS w populacji ITT na korzyść ATE (różnica 11,9 p.p.), gdzie prawdopodobieństwo przeżycia przez co najmniej 24 mies. oszacowano na 24,3% dla grupy ATE vs 12,4% w grupie CTH jednolekowej.

Mediana PFS była zbliżona w obu grupach: 4,2 mies. dla ATE vs 4 mies. dla CTH ($HR = 0,87$ [95%CI: 0,70; 1,07], $p=0,182$), bez różnic w zakresie istotności statystycznej i klinicznej. Podobne wyniki uzyskano w populacji EMA. W analizach podgrup istotną statystycznie różnicę w HR na rzecz ATE odnotowano jedynie dla mężczyzn, pacjentów bez przerzutów do wątroby oraz przy nieznanym poziomie PD-L1. Wczesne skrzyżowanie krzywych K-M wskazuje na specyfikę działania immunoterapii, a standardowa ocena PFS (RECIST v1.1) nie uwzględnia zjawiska pseudoprogresji, dlatego OS pozostaje preferowanym punktem końcowym w tego rodzaju badaniach. Prawdopodobieństwo PFS przez co najmniej 12 lub 24 miesięcy wynosiło odpowiednio 20 vs 14% i 9 vs 2% w grupach ATE vs CTH.

Monoterapia ATE istotnie statystycznie zwiększa odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie (ORR) w porównaniu z CTH ($RR=2,13$ [95%CI: 1,17; 3,86], $p=0,0135$ w populacji ITT oraz $RR=2,28$ [95%CI: 1,22; 4,24], $p=0,0094$ w populacji EMA). Różnice dotyczą głównie odpowiedzi częściowej (PR), natomiast odpowiedź całkowita (CR) jest bardzo rzadka w obu grupach (ok. 1% w grupie ATE; 0% w grupie CTH).

Mediana czasu trwania odpowiedzi (DOR) była ponad 2-krotnie dłuższa w grupie leczonej ATE w porównaniu do CTH jednolekowej – odpowiednio 14 mies. vs 7,8 mies. w populacji ITT ($HR=0,40$ [95%CI: 0,19; 0,85], $p=0,014$). Wartości te były porównywalne w populacji EMA.

Profil bezpieczeństwa produktu leczniczego Tecentriq roztwór do wstrzykiwań (podanie podskórne) był podobny do profilu bezpieczeństwa postaci

do podawania dożylnego, z dodatkowym działaniem niepożądanym obejmującym reakcję w miejscu wstrzyknięcia (4,5% w grupie otrzymującej produkt leczniczy Tecentriq we wstrzyknięciu podskórnym w porównaniu z 0% w grupie otrzymującej atezolizumab dożylnie). Reakcje w miejscu wstrzyknięcia określono jako częste działanie niepożądane, tj. występujące u $\geq 1/100$ do $< 1/10$ pacjentów.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono cztery dokumenty aktualnych wytycznych klinicznych, tj. rekomendacje Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK 2025), American Society of Clinical Oncology (ASCO 2025), National Comprehensive Cancer Network (NCCN 2025; ver. 1 2026) oraz European Society of Medical Oncology (ESMO 2025). Dla chorych na NDRP w zaawansowanym stadium IV z wysoką ekspresją PD-L1 ($\geq 50\%$) i bez mutacji EGFR/ALK/ROS1, standardem jest monoterapia inhibitorami punktów kontrolnych (ICI): pembrolizumab, atezolizumab lub cemiplimab. W wybranych przypadkach można rozważyć połączenie z chemioterapią. Przy niższej ekspresji PD-L1 (1–49%) preferowane są schematy skojarzone z ICI i chemioterapią. Ponadto zgodnie z wytycznymi ESMO 2025, u pacjentów z ECOG ≥ 2 lub w wieku > 70 lat z chorobami współistniejącymi, atezolizumab może być rozważony, nawet niezależnie od PD-L1.

Problem ekonomiczny

Analiza ekonomiczna

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie ATE w miejsce CTH jest droższe i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR wyniósł 408 tys. zł bez uwzględniania zaproponowanego RSS i [REDACTED]. zł z RSS. Aktualna wysokość progu użyteczności kosztowej to 244 821 zł/QALY.

Należy zaznaczyć, że w ramieniu CTH uwzględniono stosowanie wyłącznie winorelbiny i gemcytabiny.

Wnioskodawca przedstawił RCT dowodzące wyższości wnioskowanej technologii nad refundowanym komparatorem, zatem nie zachodzą okoliczności opisane w art. 13 ust. 3 UoR.

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego

W analizie przyjęto 4-letni horyzont czasowy obejmujący okres od 2026 roku. Liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym oszacowano na [REDACTED]

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Tecentriq w wariantcie bez RSS spowoduje wzrost wydatków NFZ o 17,58 mln zł w I roku, o 34,08 mln zł w II roku, o 47,57 mln zł w III roku i o 52,04 mln zł w IV roku refundacji. Wnioskodawca nie ujął natomiast w analizie wpływu na budżet wszystkich refundowanych obecnie komparatorów.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje refundacyjne dla przedmiotowego wskazania: negatywne – francuską HAS 2025 i duńską Medicinradet 2025 oraz niemiecką G-Ba 2025, pozytywną dla populacji pacjentów z ekspresją PD-L1 <50% TC, lecz negatywną dla populacji pacjentów z ekspresją PD-L1 ≥50% TC. W ww. rekomendacjach wskazuje się na brak danych wskazujących na korzyść kliniczną oraz zastrzeżenia dot. kryteriów włączenia do badania klinicznego. G-Ba uznaje równocześnie, że w populacji z ekspresją PD-L1 <50% TC stosowanie atezolizumabu wiąże się z niewielką dodatkową korzyścią kliniczną, uzasadniającą jego refundację w tej grupie chorych.

Główne argumenty decyzji:

- *Nie wykazano korzyści istotnej klinicznie tak w obszarze OS jak i PFS,*
- *Rekomendacje refundacyjne negatywne bądź wskazujące na znikomą korzyść dla specyficznej grupy pacjentów, trudnej do wydzielenia na podstawie wyników badania,*
- *Nie odnaleziono danych potwierdzających skuteczność praktyczną wnioskowanego leczenia ani odpowiednich przeglądów systematycznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.423.2.2.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tecentriq (atezolizumab s.c.) we wskazaniu leczenie 1. linii dorosłych z zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca w ramach programu lekowego »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10 C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10 C45)«”; data ukończenia: 03.12.2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Roche Polska sp. z o.o. zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 184/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie oceny leku Oxlumo (lumasiranum) w ramach programu
lekowego B.129.FM. „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię
typu 1 (ICD-10: E74.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Oxlumo (lumasiranum), roztwór do wstrzykiwań, 94,5 mg/0,5 ml, 1 fiol., GTIN: 08720165814138, w ramach programu lekowego B.129.FM. „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia zaproponowanego instrumentu dzielenia ryzyka tak, aby dotychczasowe wydatki płatnika publicznego nie uległy zwiększeniu.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem wniosku jest kontynuacja finansowania produktu leczniczego Oxlumo (lumazyran, LUM) w ramach programu lekowego B.129.FM „Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)” oraz rozszerzenie zapisów programu o populację chorych z zaawansowaną chorobą nerek w stadium IV-V (eGFR<30 ml/min/1,73m²) i/lub po przeszczepieniu nerki.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Oxlumo (lumasiranum) jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (ang. Risk Sharing Schemes, RSS).

Pierwotna hiperoksaluria typu 1 (PH1) to monogenowa choroba metaboliczna o dziedziczeniu autosomalnym recesywnym, w przebiegu której dochodzi do endogennej nadprodukcji szczawianu i następowego ekscesywnego wydalania tej substancji z moczem, czyli hiperoksalurii. Przyczyną PH1 są mutacje genu kodującego specyficzny dla hepatocytów peroksosomalny enzym – aminotransferazę alaninowo-glioksalanową (AGT). Powstała enzymopatia zaburza wątrobowy metabolizm glioksalanu i skutkuje nadprodukcją szczawianu w tym narządzie. PH1 jest chorobą ultraradką o zróżnicowanej geograficznie epidemiologii. Stanowi najczęstszy typ pośród pierwotnych hiperoksalurii, odpowiadając za około 80% przypadków. Zapadalność na PH1 w krajach

zachodnioeuropejskich i USA szacowana jest na ok. 1:120.000 żywych urodzeń, a chorobowość – na 1-3 przypadki na 1 milion populacji. W Polsce w ostatnich 25 latach zidentyfikowano 15 chorych z PH1, co sugeruje znacznie mniejszą zapadalność na tę chorobę w porównaniu do powyższych statystyk.

W celu utrzymania funkcji nerek niezbędne jest wczesne i intensywne leczenie, które polega na minimalizacji złogów szczawianu wapnia. Odnalezione wytyczne kliniczne (EAU 2025, ERKNet 2023, OHF 2024) zalecają u wszystkich chorych z pierwotną hiperoksalurią typu 1 stosowanie obfitej diurezy i diety ubogoszczawianowej, podawanie witaminy B6 (pirydoksyny) oraz leczenie inhibitorami krystalizacji szczawianu wapnia (cytrynian, pirofosforan, magnez) – opcje nierefundowane.

Wytyczne również wskazują lumazyran jako opcję leczenia, zalecając go jako terapię modyfikującą przebieg choroby (zmniejszenie endogennej produkcji szczawianów) w przypadku braku odpowiedzi na pirydoksynę u pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek. W przypadku obecności mutacji świadczącej o braku odpowiedzi na pirydoksynę leczenie RNAi zalecane jest również w bardziej zaawansowanych stadiach choroby (eGFR <30 ml/min/1,73 m²). W związku z tym, u chorych z PH i zachowaną funkcją nerek, przy dostępności terapii RNAi redukującej nadprodukcję szczawianu, nie rekomenduje się przeszczepienia wątroby. Natomiast w przypadku progresji do niewydolności nerek należy rozważyć dializoterapię oraz przeszczepienie nerki wraz z wątrobą.

Lumazyran to dwuniciowy mały interferujący kwas rybonukleinowy (ang. small interfering ribonucleic acid, siRNA), który obniża poziom oksydazy glikolanowej (ang. glycolate oxidase, GO) w wyniku działania ukierunkowanego molekularnie na informacyjny kwas rybonukleinowy (mRNA) powstały w wyniku transkrypcji genu kodującego oksydazę hydroksykwasów 1 (ang. hydroxyacid oxidase 1, HAO1) w hepatocytach poprzez zjawisko interferencji RNA. W wyniku obniżenia poziomu GO następuje zmniejszenie ilości dostępnego glioksalanu, który jest substratem w reakcji powstawania szczawianów. Prowadzi to do obniżenia stężenia szczawianów w moczu i w osoczu, które leżą u podłoża objawów chorobowych u pacjentów z PH1. Ponieważ GO w szlaku enzymatycznym znajduje się przed aminotransferazą alaninowo-glioksyalanową (ang. alanineglyoxylate aminotransferase, AGT), której niedobór wywołuje PH1, mechanizm działania lumazyranu jest niezależny od pierwotnej mutacji genu AGXT.

Lek był przedmiotem oceny Rady w 2021 i został wpisany na listę TLI.

Dowody naukowe

Kluczowe dowody naukowe dla oceny efektywności klinicznej lumazyranu stanowią wyniki badań ILLUMIANTE-A, ILLUMINATE-B oraz ILLUMINATE-C.

Wyniki dla pacjentów z PChN w stadium I-III (eGFR ≥30 ml/min/1,73 m²)

Badanie ILLUMINATE-A było randomizowanym, podwójnie zaślepionym badaniem kontrolowanym placebo, obejmującym 39 pacjentów – dorosłych oraz dzieci w wieku ≥ 6 lat, z rozpoznaniem PH1. W 6-miesięcznym okresie obserwacji wykazano istotną redukcję dobowego wydalania szczawianów z moczem – średnio o około 53,5% (95% CI: -62,3; -44,8%; $p < 0,001$) względem wartości wyjściowej w porównaniu z placebo (LUM: 65,4% vs PLC: 11,8%). Efekt utrzymywał się w 30-miesięcznym okresie obserwacji (redukcja na poziomie 54%). Większość pacjentów leczonych lumazyranem osiągnęła po 6 m-cach stężenie szczawianów w moczu $\leq 1,5$ GGN (84% vs 0%, $p < 0,001$). Wyniki z dłuższego okresu obserwacji wskazują jednak, że odsetek ten zmniejszał się w czasie – z 87,5% po 12 miesiącach do 63,2% po 60 miesiącach. W grupie lumazyranu zaobserwowano również istotną statystycznie redukcję stężenia szczawianów w osoczu, która utrzymywała się w dłuższym okresie obserwacji (60 m-cy). Ponadto, zaobserwowano korzyści z leczenia LUM w zakresie wskaźnika zdarzeń związanych ze złogami w układzie moczowym oraz nasilenia nefrokalcynozy (po 60 miesiącach poprawę obrazu nerek zaobserwowano u 79% badanych). W zakresie funkcji nerek wartości eGFR pozostawały stabilne przez cały okres badania podwójnie zaślepiętego oraz do 60 miesięcy leczenia w fazie przedłużonej, zarówno w grupie LUM/LUM, jak i PLC/LUM, oscylując wokół wartości uznanej za prawidłową (≥ 90 ml/min/1,73 m²).

Badanie jednoramienne ILLUMINATE-B, obejmowało 18 pacjentów pediatrycznych < 6 . roku życia (włączano chorych z eGFR > 45 ml/min/1,73 m²). Zaobserwowano redukcję stężenia szczawianów w moczu i osoczu, widoczną już po pierwszym miesiącu leczenia i utrzymującą się do 30. miesiąca (średnia redukcja stężenia szczawianów w dobowej zbiórce moczu: 68% po 6 miesiącach i 73% po 30 miesiącach).

Analiza danych z programu lekowego (N=8) i porównanie z badaniem ILLUMINATE-A wskazują, że redukcja wydalania szczawianów była nieco niższa w PL niż w badaniu rejestracyjnym, ale odsetek pacjentów ze zbliżonym do normy wydalaniem po 6 miesiącach był porównywalny. Wskaźnik eGFR pozostawał stabilny.

Wyniki dla pacjentów z zaawansowaną PChN (stadium IV-V, eGFR < 30 ml/min/1,73 m²)

W badaniu jednoramiennym ILLUMINATE-C, do którego włączono 21 pacjentów z eGFR < 45 ml/min/1,73 m² (w tym 15 dializowanych) po 6 miesiącach leczenia lumazyranem zaobserwowano: w grupie niedializowanej (A) zmniejszenie stężenia szczawianów w osoczu o ok. 33% względem wartości początkowej, w grupie dializowanej (B) zmniejszenie stężenia szczawianów w osoczu o ok. 42%. Efekt utrzymywał się do 24 miesięcy obserwacji (redukcja na poziomie 60% w grupie bez dializ i 30% w grupie dializowanych). Stężenie szczawianów w moczu: w grupie niedializowanej odnotowano redukcję na poziomie

10% po 6 mies.). Wskaźnik eGFR: u pacjentów bez dializoterapii eGFR pozostawał stabilny przez okres obserwacji (spadek o ok. 3,4 ml/min/1,73 m² po 6 mies.). Kamica nerkowa i nefrokalcynoza: zaobserwowano zmniejszenie częstości zdarzeń związanych ze złoгами w układzie moczowym oraz poprawę lub stabilizację nefrokalcynozy u większości pacjentów.

W badaniu RWE zaobserwowano redukcję szczawianów w osoczu (średnio o ok. 30–66% u pacjentów z eGFR <30 ml/min/1,73 m²) oraz stabilizację funkcji nerek i poprawę parametrów klinicznych.

Wyniki dla pacjentów po przeszczepieniu nerki

Dane są bardzo ograniczone i pochodzą głównie z pojedynczych przypadków w badaniach ILLUMINATE-C, DAILY-LUMA (Sellier-Leclerc 2024) oraz Deesker 2025. W badaniu ILLUMINATE-C u dwóch pacjentów po izolowanym przeszczepieniu nerki odnotowano znaczną redukcję szczawianów w osoczu (do 78,8% i 87,4% względem wartości początkowej po 24 miesiącach), stabilną funkcję przeszczepu (eGFR 24–120 ml/min/1,73 m²) oraz brak nawrotu nefropatii szczawianowej w biopsji przeszczepu. W badaniu DAILY-LUMA 7 pacjentów dializowanych przeszło przeszczepienie przed drugim rokiem leczenia; zmiana stężenia szczawianów u tych pacjentów była zbliżona do wyników opisywanych w badaniach klinicznych (ILLUMINATE-C). Podkreślono, że zakończenie dializ i przeprowadzenie przeszczepienia powinno nastąpić możliwie szybko, aby ograniczyć ryzyko narastania oksalozy ogólnoustrojowej. U większości pacjentów po przeszczepieniu stężenie szczawianów wynosiło poniżej 72 mmol/l. W badaniu Deesker 2025 u jednego pacjenta po przeszczepie nerki odnotowano zmniejszenie stężenia szczawianów w osoczu z 218 do 10 µmol/l oraz stabilną funkcję przeszczepu (eGFR 51,68 ml/min/1,73 m²).

Analiza bezpieczeństwa

Bezpieczeństwo stosowania lumazyranu oceniono na podstawie badań klinicznych ILLUMINATE-A, ILLUMINATE-B, ILLUMINATE-C oraz danych z rzeczywistej praktyki (RWE). W żadnym z badań nie odnotowano zgonów. Zdarzenia niepożądane występowały u większości pacjentów, najczęściej miały charakter łagodny lub umiarkowany i obejmowały reakcje w miejscu wstrzyknięcia, ból głowy, nieżyt nosa oraz infekcje górnych dróg oddechowych. Przerwanie leczenia było rzadkie: w ILLUMINATE-A dotyczyło 1 pacjenta (3,8%) z powodu objawów niezwiązanych z lekiem, w ILLUMINATE-B nie wystąpiło, a w ILLUMINATE-C odnotowano 2 przypadki (9,5%) związane z przeszczepieniem wątroby lub nerki. W analizie długoterminowej w ILLUMINATE-A (60 miesięcy) zdarzenia niepożądane wystąpiły u 94,9% pacjentów, ciężkie AE u 15,4%, a przerwanie leczenia odnotowano u 2,6%. W ILLUMINATE-B (30 miesięcy) AE wystąpiły u wszystkich pacjentów, ciężkie AE u 5,6%, nie odnotowano przerwania leczenia. W ILLUMINATE-C (24 miesiące) AE wystąpiły u wszystkich

leczonych, ciężkie AE u 71,4%, a przerwanie leczenia u 9,5%, głównie w związku z transplantacją narządów. Dane RWE potwierdzają dobrą tolerancję – najczęściej zgłaszano przemijające reakcje w miejscu wstrzyknięcia, bez ciężkich zdarzeń niepożądanych.

Wytyczne kliniczne

Lumazyran został wymieniony w wytycznych EAU 2025, ERKNet / OxalEurope 2023 oraz OHF 2024. W polskich wytycznych PTU 2021 lumazyran nie został uwzględniony, co może wynikać z faktu, iż rejestracja leku miała miejsce w czasie, kiedy trwały prace nad wytycznymi. Leczenie lumazyranem jest zalecane w przypadku braku odpowiedzi na pirydoksynę (EAU 2025, OHF 2024). Wytyczne ERKNet/Oxal 2023 w sposób bardziej szczegółowy wskazują grupy pacjentów, u których zaleca się stosowanie lumazyranu. Obejmują one: 1) pacjentów z PH1, niezależnie od wieku ORAZ z brakiem odpowiedzi biochemicznej na pirydoksynę lub obecną mutacją świadczącą o braku odpowiedzi na pirydoksynę ORAZ wydalenie szczawianów z moczem $>1,5 \times \text{GGN}$ ORAZ występuje fenotyp kliniczny PH1, charakteryzujący się czynną kamicą nerkową ORAZ/LUB nefrokalcynozą ORAZ/LUB upośledzeniem czynności nerek; 2) pacjentów z PH1, niezależnie od wieku, z obecną mutacją świadczącą o braku odpowiedzi na pirydoksynę i eGFR $<30 \text{ ml/min/1,73 m}^2$. Nie zaleca się natomiast stosowania leczenia RNAi u chorych z PH, którzy odpowiadają na leczenie pirydoksyną i ze stężeniem szczawianów w moczu w zakresie normy. Zgodnie z wytycznymi OHF 2024 zaleca się kontynuowanie terapii u chorych z zaawansowaną przewlekłą chorobą nerek lub wymagających dializoterapii, jeśli udokumentowano redukcję stężenia szczawianów w osoczu. U pacjentów w bardziej zaawansowanych stadiach choroby rozważa się wdrożenie terapii nerkozastępszej oraz przeszczepienie wątroby i/lub nerki. W żadnych wytycznych nie odniesiono się do możliwości stosowania lumazyranu u chorych po przeszczepieniu nerki.

Problem ekonomiczny

Analizę ekonomiczną przeprowadzono w formie analizy kosztów-użyteczności (CUA) oraz konsekwencji kosztów (CCA).

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie LUM+ECM w miejsce PLC+ECM jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania LUM+ECM vs PLC+ECM wyniósł z perspektywy płatnika publicznego [redacted] w wariantcie z RSS oraz 1 208 330,25 zł/QALY w wariantcie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [redacted] w wariantcie z RSS oraz 1 208 101,56 zł/QALY w wariantcie bez RSS. Wszystkie te wartości znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego

[redacted]

W przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o kontynuacji finansowania lumazyranu ze środków publicznych nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego o około [REDAKTOWANO] zł w 1. roku, około [REDAKTOWANO] zł w 2. roku oraz o około [REDAKTOWANO] zł w 3. roku (z uwzględnieniem RSS).

W związku z niepewnością dotyczącą faktycznej liczby pacjentów, analitycy wykonali obliczenia własne, w celu oszacowania populacji obejmującej dodatkowe kryteria włączenia (z uwzględnieniem danych podanych przez ekspertów). W ocenie Agencji docelowa populacja może liczyć 11 osób.

Prognozowany wzrost wydatków całkowitych, w przypadku uwzględnienia RSS przy założeniu, że liczba pacjentów w 1., 2. i 3. roku analizy będzie wynosić 11, wyniesie około [REDAKTOWANO] zł w 1. roku, około [REDAKTOWANO] zł w 2. roku oraz około [REDAKTOWANO] zł w 3. roku.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 4 rekomendacje pozytywne (CDA-AMC 2023, G-BA 2021, HAS 2021, NICE 2023). W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na potencjalną korzyść lumazyranu dla pacjentów z pierwotną hiperksalurią typu 1, przy czym nie przedstawiono szczegółowych kryteriów kwalifikacji do terapii. W rekomendacji CDA-AMC zalecono refundację lumazyranu w ocenianym wskazaniu pod warunkiem spełnienia określonych warunków, w tym obniżenia ceny leku. W rekomendacji HAS zalecany poziom refundacji wynosi 65%.

Oxlumo jest finansowany w 11 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji

- Niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Konieczność kontynuacji leczenia pacjentów objętych programem lekowym, nawet w razie postępu przewlekłej choroby nerek;
- Skuteczność kliniczna potwierdzona w badaniach naukowych i rzeczywistej praktyce klinicznej, zarówno w odniesieniu do istniejących, jak i proponowanych rozszerzonych kryteriów kwalifikacji;
- Przewidywany znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego wymagający znacznego pogłębienia RSS;
- Pozytywne rekomendacje towarzystw naukowych;
- Pozytywne rekomendacje refundacyjne (CDA-AMC 2023, G-BA 2021, HAS 2021, NICE 2023).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DIPOTM.423.1.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Oxlumo (lumasiranum) we wskazaniu: zgodnym z zapisami programu lekowego B.129.FM Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)”, data ukończenia: 1 grudnia 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Medison Pharma sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Medison Pharma sp. z o.o. zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Medison Pharma sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 185/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczenie kalprotektyny w kale” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie kalprotektyny w kale” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszego stanowiska Rady Przejrzystości jest ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie kalprotektyny w kale” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Nieswoiste choroby zapalne jelit (NZJ) obejmują przede wszystkim wrzodziejące zapalenie jelita grubego (WZJG) i chorobę Leśniowskiego-Crohna (ChL-C). Są to choroby przewlekłe o nawrotowym zapaleniu jelit, których wykrywalność stale rośnie; najczęściej ujawniają się w okresie dojrzewania i wczesnej dorosłości, ale coraz częściej dotyczą też dzieci. Patogeneza NZJ wiąże się z zaburzoną regulacją odpowiedzi immunologicznej błony śluzowej na mikroflorę jelitową u osób z predyspozycją genetyczną, przy istotnym udziale czynników środowiskowych (m.in. styl życia, wczesna ekspozycja na antybiotyki, dieta, brak karmienia piersią) oraz dysbiozy mikrobiomu. WZJG ma zwykle charakter przewlekłego, rozlanego zapalenia jelita grubego, natomiast ChL-C może zajmować każdy odcinek przewodu pokarmowego, ma często charakter odcinkowy, może prowadzić do zwężeń, przetok i zmian okołodbytniczych; histologicznie w ChL-C zapalenie bywa pełnościenne, a ziarniniaki nieserowaciejące mogą pomagać w różnicowaniu z WZJG.

Diagnostyka u dzieci wymaga uwzględnienia objawów klasycznych (ból brzucha, utrata masy ciała, krwawa biegunka), ale też nieklasycznych (zaburzenia wzrostu, anemia, objawy pozajelitowe). Standardem rozpoznania jest

endoskopia górnego odcinka przewodu pokarmowego i kolonoskopia z oceną jelita krętego oraz biopsjami, uzupełniana badaniami laboratoryjnymi i diagnostyką kału (patogeny, *C. difficile*, markery zapalne, kalprotektyna). Kalprotektyna w kale jest użytecznym, nieinwazyjnym biomarkerem zapalenia błony śluzowej: wartości $<50 \mu\text{g/g}$ można interpretować jako brak NZJ, $>250 \mu\text{g/g}$ sugerują istotne zapalenie i zwykle wymagają dalszej diagnostyki (często endoskopii), a zakres $50\text{--}250 \mu\text{g/g}$ jest tzw. „szarą strefą” i wymaga obserwacji. Ze względu na brak standaryzacji testów wyniki nie są w pełni wymienne, dlatego pacjenta należy monitorować konsekwentnie tą samą metodą; ważne są też zasady prawidłowego pobrania i przechowywania próbki. Oznaczenie kalprotektyny w kale, zgodnie z treścią Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), jest stosowane w diagnostyce i różnicowaniu stanów zapalnych jelit oraz przewodu pokarmowego – przede wszystkim w rozpoznaniu nieswoistych zapaleń jelit. Wykonanie oznaczenia stężenia kalprotektyny w kale u dzieci wskazane jest w diagnostyce różnicowej przewlekłych dolegliwości bólowych brzucha, niedoboru masy ciała (i wzrostu) celem wykluczenia postaci skąpoobjawowych. Badanie jest wykonywane również w poradni gastrologicznej dla dzieci, oraz w poradni endokrynologicznej dla dzieci w diagnostyce różnicowej niedoboru wzrostu i masy ciała z przyczyn gastrologicznych. Znajduje zastosowanie szczególnie u pacjentów z wywiadem bólu brzucha, niedoboru masy ciała czy innych objawów ze strony przewodu pokarmowego.

Oznaczenie kalprotektyny w kale służy do diagnostyki i różnicowania stanów zapalnych jelit oraz przewodu pokarmowego. Kalprotektyna jest białkiem ostrej fazy wytwarzanym głównie przez leukocyty w ścianie jelit, a jej stężenie w kale odzwierciedla nasilenie zapalenia. Jest markerem w kierunku nieswoistych zapaleń jelit (WZJG, ChL-C), a także może towarzyszyć innym patologiom, w tym nowotworom.

U dzieci badanie jest wykorzystywane w diagnostyce różnicowej przewlekłych bólów brzucha oraz niedoboru masy ciała i/lub wzrostu, zwłaszcza gdy podejrzewa się skąpoobjawowe postaci choroby. Ujemny wynik z dużym prawdopodobieństwem wyklucza NZJ, co często pozwala uniknąć inwazyjnej endoskopii dolnego odcinka przewodu pokarmowego. Z kolei wysoki poziom kalprotektyny uzasadnia podejrzenie zapalnej choroby jelit i pilne skierowanie na diagnostykę gastrologiczną.

Aktualnie oceniane badanie nie jest uwzględnione w rozporządzeniu Ministra Zdrowia dotyczącym wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS). Nie jest ono również zawarte

w ramach wykazów świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej czy leczenia szpitalnego.

Oznaczenie kalprotektyny w kale zostało wyszczególnione w treści dwóch programów lekowych: B.32. Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50) (jako dodatkowa opcja diagnostyczna w monitorowaniu) oraz B.55. Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51) (jako jedno z obowiązkowych badań do wykonania przy kwalifikacji pacjenta do programu oraz jako sugerowana do rozważenia opcja diagnostyczna w przypadku optymalizacji leczenia).

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego dokonano analizy dowodów naukowych dotyczących oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania kalprotektyny. Przeszukiwania wykonano w bazach The Cochrane Library, MEDLINE i Embase (zakres lat 2010–2025; w Cochrane bez ograniczeń), w dniu 20.11.2025 r.

W wynikach uwzględniono badanie wtórne Holtman 2017 (metaanaliza indywidualnych danych pacjentów z 8 badań), którego celem było sprawdzenie, czy dodatkowa analiza markerów laboratoryjnych poprawia trafność rozpoznania NZJ u dzieci z przewlekłymi dolegliwościami żołądkowo-jelitowymi w porównaniu do oceny wyłącznie objawów klinicznych (diagnoza potwierdzana endoskopią i histopatologią lub obserwacją).

Model diagnostyczny oparty na objawach (ból brzucha, biegunka, krwawienie z odbytu) miał łączną AUC 0,70 natomiast najlepszą zdolność różnicującą wykazała kalprotektyna w kale (AUC 0,95) i dawała największy przyrost wartości predykcyjnej po dodaniu do modelu (Δ AUC 0,26), wyraźnie większy niż markery krwi (CRP, ESR, płytki, albumina, hemoglobina). Analiza rekasyfikacji (progi ryzyka NZJ <35% – zwykle bez endoskopii, >60% – z endoskopią) wykazała, że dołączenie oznaczania kalprotektyny w kale (FC) silnie „porządkuje” decyzje kliniczne: zmniejsza liczbę pacjentów w grupie tzw. „niepewnej diagnozy” (średnie ryzyko) z 55 do 6 na 100 dzieci, zwiększa odsetek prawidłowo wykrytych przypadków pediatrycznych bez NZJ w niskim ryzyku oraz zwiększa liczbę rzeczywistych przypadków NZJ sklasyfikowanych do grupy wysokiego ryzyka.

Przegląd wytycznych praktyki klinicznej (m.in. NICE i ESPGHAN), wskazuje na użyteczność FC i zalecają je jako narzędzie wspierające różnicowanie NZJ (także u dzieci kierowanych do specjalisty).

Wytyczne ESPGHAN precyzują także kluczowe aspekty standaryzacji: prawidłowe pobranie i przechowywanie próbki, interpretację wyników zależną od wieku, konieczność uwzględniania kontekstu klinicznego oraz stosowania tej samej metody oznaczenia i zestawu testowego u danego pacjenta. Jednocześnie

podkreślono ograniczenia FC – stężenie kalprotektyny ponad prawidłową wartość nie pozwala różnicować typu NZJ, innych przyczyn zapalenia ani ocenić zakresu choroby.

Na podstawie przeglądu odnalezionych informacji dotyczących zasad realizacji i finansowania oznaczania kalprotektyny w kale stwierdzono dostępność ocenianego badania w katalogu badań laboratoryjnych Manchester University NHS Foundation Trust (NHS, Wielka Brytania) oraz w publicznych wykazach/nomenklaturach świadczeń/procedur w Belgii, Niemczech i Czechach, co oznacza możliwość finansowania ocenianego badania w ramach systemu publicznego z uwzględnieniem specyfiki rozwiązań organizacyjnych i refundacyjnych krajowego systemu ubezpieczenia zdrowotnego. W raporcie HAS (Francja, instytucja HTA) z 11.06.2020 r. wskazano na brak zasadności finansowania ocenianego badania w ramach powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego.

Problem ekonomiczny

Analizy dokonano na podstawie doniesienia Yang 2014, które porównało dwie strategie diagnostyczne: przesiewowe oznaczenie FC przed endoskopią (endoscopia tylko przy wyniku dodatnim) versus bezpośrednia diagnostyka endoskopowa wszystkich pacjentów z podejrzeniem NZJ.

Wyniki dla populacji pediatrycznej sugerowały, że strategia z badaniem FC obniża koszt procesu diagnostycznego średnio o ok. 300 USD na pacjenta, ale wiąże się z opóźnieniem rozpoznania u części dzieci z NZJ (w modelu ok. 4,8/61 przypadków NZJ na 100 pacjentów z podejrzeniem NZJ). Z kolei rezygnacja z FC i wybór bezpośrednio endoskopii zwiększa koszty – w modelu dodatkowo ok. 6 250 USD, aby uniknąć jednego wyniku fałszywie ujemnego FC (tj. uzyskać jedną dodatkową „natychmiastową” prawdziwą diagnozę). Autorzy zwrócili uwagę, że model nie uwzględnia konsekwencji zdrowotnych opóźnionej diagnozy u dzieci z wynikiem fałszywie ujemnym, co jest znaczącym ograniczeniem interpretacji opłacalności.

Wycenę przedmiotowego świadczenia oparto na analizie cenników komercyjnych dostępnych na rynku (z uwzględnieniem, że ceny te zawierają marżę zysku podmiotów wykonujących badania – średnia po odcięciu wartości skrajnych), jak również informacji co do warunków realizacji świadczenia ujętych w karcie świadczenia opieki zdrowotnej. Na tej podstawie zaproponowano wycenę świadczenia „Oznaczenie kalprotektyny w kale” na poziomie 130 zł.

Szacowane wydatki płatnika publicznego na podstawie Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej wyniosłyby ok. 130 000 zł/rok, a danych sprawozdawczo-

rozliczeniowych NFZ (oszacowanie własne AOTMiT) – wyniosłyby: ok. 383,4 tys. zł w I roku obowiązywania ocenianego świadczenia oraz ok. 420,8 tys. zł w II roku obowiązywania ocenianego świadczenia.

Główne argumenty decyzji:

- Nieinwazyjne i czułe narzędzie przesiewowe wspierające diagnostykę różnicową NZJ;
- Przyspieszenie ścieżki diagnostycznej u dzieci;
- Możliwość ograniczenia części endoskopii i hospitalizacji diagnostycznych;
- Dowody naukowe wskazują na poprawę trafności diagnostycznej w populacji pediatrycznej;
- W większości pozytywne wytyczne i rekomendacje międzynarodowe;
- Analiza ekonomiczna sugeruje, że strategia z FC przed endoskopią może obniżać średnie koszty diagnostyki na pacjenta.

Uwagi Rady:

- Przy silnym podejrzeniu NZJ nie należy opóźniać endoskopii w oczekiwaniu na oznaczenie FC;
- Rada uważa, że niezasadne jest ograniczenie populacji docelowej wyłącznie do dzieci.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.420.5.2025 „Oznaczenie kalprotektyny w kale”; data ukończenia: 11.12.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 186/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej
„Oznaczenie stężenia fosforanów i stężenia wapnia” jako świadczeń
gwarantowanych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczeń opieki zdrowotnej dot. oznaczenia stężenia fosforanów i stężenia wapnia w moczu jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem oceny jest zasadność zakwalifikowania dwóch badań diagnostyki laboratoryjnej: oznaczenie stężenia wapnia w moczu oraz oznaczenie stężenia fosforanów w moczu jako świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej wraz z opracowaniem wyceny dla świadczeń.

Oznaczenie stężenia wapnia w moczu, zgodnie z informacjami zawartymi w karcie Świadczenia Opieki Zdrowotnej (KŚOZ), znajduje zastosowanie u pacjentów z innymi zaburzeniami gospodarki wapniowo-fosforanowej, chorobami nerek, niedoborem wzrostu. Oznaczenie stężenia wapnia w moczu pozwala na prawidłowe prowadzenie leczenia, unikanie powikłań terapii oraz zapobieganie niepełnosprawności (niedobór wzrostu, deformacje kończyn, nasilone bóle kostno-stawowe, zwiększone ryzyko złamań). W odniesieniu do oznaczenia stężenia fosforanów w moczu, zarówno w pojedynczej próbce, jak i w dobowej zbiórce, jest badaniem stosowanym w diagnostyce i monitorowaniu leczenia zaburzeń gospodarki wapniowo-fosforanowej, takich jak choroby przytarczyc czy krzywica hipofosfatemiczna sprzężona z chromosomem X (XLH). Badanie to jest niezbędne m.in. do oceny skuteczności leczenia oraz do wyliczenia wskaźnika TmP/GFR .

Powyższe badania wnioskowane są do realizacji w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej w zakresie poradni endokrynologicznej dla dzieci oraz diabetologicznej dla dzieci. Aktualnie badania diagnostyki laboratoryjnej, o których mowa powyżej, nie zostały uwzględnione w rozporządzeniu Ministra Zdrowia dotyczącym wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS). Wykonanie oznaczenia stężenia

wapnia w moczu jest ujęte w wykazie badań diagnostycznych dostępnych dla lekarza podstawowej opieki zdrowotnej (POZ).

Dowody naukowe

Oznaczanie stężenia wapnia w moczu oraz stężenia fosforanów w moczu są świadczeniami o ugruntowanej pozycji. Ponadto oznaczanie stężenia wapnia w moczu jest świadczeniem gwarantowanym w POZ. W przypadku oznaczenia stężenia wapnia w moczu analizę kliniczną ograniczono do doniesień wtórnych oraz wytycznych praktyki klinicznej.

Dokonano również systematycznego przeglądu badań odnoszących się do oznaczania stężenia fosforanów w moczu w populacji pediatrycznej z zaburzeniami gospodarki wapniowo-fosforanowej (m.in. hipofosfatemią sprzężoną z chromosomem X (XLH), cukrzycą typu 1, zaburzeniami wzrostu, chorobami przytarczyc). Przeglądem objęto badania pierwotne i wtórne z lat 2021–2025 wyselekcjonowane według kryteriów PICO.

Do analizy włączono cztery badania (w tym jedną analizę post-hoc RCT oraz trzy obserwacyjne), które oceniały wartość diagnostyczną oznaczenia fosforanów w moczu lub parametrów pokrewnych (np. TmP/GFR, TRP) w różnych kontekstach klinicznych:

1. Liang 2025: Badanie dzieci z XLH wykazało, że oznaczenie dobowego wydalania fosforanów w moczu (24h UP) pozwala na różnicowanie pacjentów z niskim i prawidłowym wzrostem, choć różnice nie były istotne statystycznie;
2. Ertl 2022: W kohorcie dzieci z XLH leczonych burosumabem monitorowano TmP/GFR (maksymalna reabsorpcja fosforanów w kanalikach nerkowych względem filtracji kłębuszkowej). Wartości TmP/GFR rosły podczas leczenia i utrzymywały się w dolnym zakresie normy;
3. Namba 2022: U dzieci z XLH leczonych burosumabem obserwowano wzrost TRP i TmP/GFR do 8. tygodnia leczenia, a następnie stabilizację tych parametrów;
4. Marzuillo 2021: U dzieci z nowo rozpoznaną cukrzycą typu 1 wykazano, że obniżony TRP (wchłanianie zwrotne fosforanów) jest częstszy u pacjentów z ostrym uszkodzeniem nerek i uszkodzeniem cewek nerkowych. TRP korelowało z innymi biomarkerami uszkodzenia nerek i parametrami biochemicznymi.

Analiza wykazała, że zidentyfikowane badania odnoszą się przede wszystkim do wykorzystania oznaczeń wapnia i fosforanów w moczu w kontekście diagnostyki i monitorowania pacjentów z XLH przed oraz w trakcie terapii burosumabem. Należy jednak wskazać, że burosumab oraz oceniane świadczenia

są finansowane w programie lekowym, zapewniającym kompleksową opiekę dla pacjentów z XLH.

Na podstawie odnalezionych informacji dotyczących zasad realizacji i finansowania oznaczania stężenia wapnia i fosforanów w moczu można zauważyć, że we wszystkich analizowanych systemach opieki zdrowotnej (Czechy, Francja, Wielka Brytania, Niemcy, Belgia) badania te są uwzględnione w oficjalnych wykazach procedur refundowanych w ramach publicznego ubezpieczenia zdrowotnego w ramach realizacji zleceń na poziomie podstawowej oraz specjalistycznej opieki zdrowotnej z uwzględnieniem specyfiki rozwiązań organizacyjnych i refundacyjnych krajowego systemu ubezpieczenia zdrowotnego.

Problem ekonomiczny

Oznaczanie stężenia wapnia w moczu oraz stężenia fosforanów w moczu są świadczeniami o ugruntowanej pozycji.

W ramach propozycji wyceny świadczenia „Oznaczenie stężenia wapnia w moczu” na podstawie przyjętej metodyki szacowania wyceny ocenianego badania laboratoryjnego zaproponowano wycenę świadczeń na poziomie 12 zł. Szacowane skutki finansowe wdrożenia świadczeń „Oznaczenie stężenia wapnia w moczu” na podstawie: Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej - wyniosłyby od 6 000 do 12 000 zł/rok; a według danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ (oszacowanie własne AOTMiT) – wyniosłyby: ok. 61,4 tys. zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania oraz ok. 69,8 tys. zł w II roku.

W ramach propozycji wyceny świadczenia „Oznaczenie stężenia fosforanów w moczu” na podstawie przyjętej metodyki szacowania wyceny ocenianego badania laboratoryjnego zaproponowano wycenę świadczeń na poziomie 12 zł. Szacowane skutki finansowe wdrożenia świadczeń „Oznaczenie stężenia fosforanów w moczu” na podstawie: Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej - wyniosłyby 12 000 zł/rok, a w zakresie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ (oszacowanie własne AOTMiT) – wyniosłyby: ok. 35,8 tys. zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania oraz ok. 40,7 tys. zł w II roku.

Wydaje się, że wpływ realizacji ocenianych badań na budżet płatnika może być obojętny, co powinno się mieścić w dotychczasowych kosztach diagnostyki prowadzonej w ramach wizyt ambulatoryjnych.

Główne argumenty decyzji:

- Oznaczanie stężenia wapnia oraz stężenia fosforanów w moczu są kluczowymi badaniami w diagnostyce wielu chorób i zaburzeń;
- Badania powtarzalne, obarczone niskim ryzykiem błędu;
- Łatwość pobrania materiału i wykonania analizy;
- Bezpieczne prowadzenie leczenia;
- Akceptowalny wpływ na budżet płatnika publicznego;

- *Świadczenia finansowane w większości krajów europejskich.*

Uwaga Rady

Rada uważa, że niezasadne jest ograniczenie populacji docelowej wyłącznie do dzieci.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.420.5.2025 „Oznaczenie stężenia wapnia w moczu, oznaczenie stężenia fosforanów w moczu”; data ukończenia: 11.12.2025 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 187/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23” jako
świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszego stanowiska Rady Przejrzystości jest zasadność zakwalifikowania świadczenia „Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF-23” jako świadczenia gwarantowanego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) w poradniach endokrynologii dziecięcej i diabetologii dziecięcej oraz oszacowanie jego wyceny.

Aktualnie wnioskowane badanie diagnostyki laboratoryjnej nie jest finansowane w ramach wykazów świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej czy leczenia szpitalnego. Nie jest też wymaganym elementem diagnostycznym w programach lekowych.

Czynnik wzrostu fibroblastów 23 (FGF-23) jest produkowany przez osteocyty, a w mniejszym stopniu przez osteoblasty. Hamuje on resorpcję zwrotną fosforanów w kanalikach nerkowych poprzez wpływ na zależne od sodu kotransportery fosforu (NPT). FGF-23 dodatkowo zmniejsza ekspresję 1 α -hydroksylazy i zwiększa ekspresję 24-hydroksylazy, redukując w ten sposób stężenie 1,25(OH) $_2$ D w krążeniu. Jego nadmiar powoduje zwiększenie wydalania fosforanów z moczem i obniżenie ich stężenia w osoczu. Niedobór natomiast prowadzi do wzrostu stężenia fosforanów w krążeniu, podwyższonego stężenia 1,25(OH) $_2$ D oraz zwiększonej tendencji do tworzenia zwapnień w tkankach miękkich.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego przeprowadzono wyszukiwanie dowodów naukowych dotyczących oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia „oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF-23” jako świadczenia

gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. W toku prac odnaleziono i włączono do analizy jeden przegląd systematyczny Wiernik 2024, w którym przedstawiono doniesienia z badań pierwotnych:

- 23 badania dotyczące przewlekłej choroby nerek;
- 12 badań dotyczących krzywicy;
- 7 badań dotyczących niedoboru hormonu wzrostu.

W przeglądzie Wiernik 2024 autorzy zwrócili uwagę, iż oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF-23 u pacjentów pediatrycznych z m.in. niewydolnością nerek oraz zaburzeniami związanymi z hormonem wzrostu, może stanowić wczesny marker dla ww. chorób. Oznaczenie tych białek może być również przydatne do oszacowania ryzyka wystąpienia różnych powikłań u przewlekle chorych pacjentów pediatrycznych. Dodatkowo, analizowane w przeglądzie systematycznym Wiernik 2024 publikacje zaznaczają, iż:

- w przewlekłej chorobie nerek (CKD) stężenie FGF-23 rośnie wraz z zaawansowaniem choroby, a wysokie stężenie FGF-23 wiąże się z niedoborem witaminy D;
- w krzywicy hipofosfatemicznej oznaczenie FGF-23 pozwala odróżnić postać dziedziczną od krzywicy z niedoboru witaminy D, a także może być użyteczne w ocenie odpowiedzi na leczenie i doborze terapii celowanej;
- w niedoborze hormonu wzrostu zaobserwowano:
 - istotny wzrost stężenia białka Klotho ($p < 0,001$) u dzieci z organicznym niedoborem hormonu wzrostu w porównaniu z wartościami wyjściowymi po 12 miesiącach terapii rekombinowanym ludzkim hormonem wzrostu (Efthymiadou 2016);
 - wzrost stężenia fosforanów w surowicy, który zaobserwowano u dzieci z niedoborem GH poddanych leczeniu GH nie był związany z hamowaniem osi fosfaturycznej FGF-23/Klotho (tj. obserwacje sugerowały utrzymanie/aktywność tej osi) (Efthymiadou 2016);
 - jednoczesny wzrost stężenia fosforanów i hormonu FGF-23 podczas terapii hormonem wzrostu u dzieci z jego niedoborem; dodatnia korelacja między stężeniem fosforanów a stężeniem FGF-23 sugeruje istnienie mechanizmu sprzężenia zwrotnego, w którym GH może wyzwać wzrost stężenia FGF-23 w celu utrzymania równowagi fosforanowej (Belceanu 2022).

Odnaleziono 4 publikacje zaleceń oraz rekomendacji referujące do oznaczania stężenia czynnika wzrostu fibroblastów 23 (FGF-23) wyłącznie w diagnostyce i monitorowaniu hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X (XLH): IWG 2025, CPR-XLH 2025, ESCEO 2022, CPR-XLH 2019.

Oznaczania stężenia czynnika wzrostu fibroblastów 23 sugeruje się do rozważenia w ramach przeprowadzanej oceny klinicznej pacjenta z hipofosfatemią sprzężoną z chromosomem X (ESCEO 2022, nie określono siły zalecenia), diagnostyki biochemicznej (CPR-XLH 2025, umiarkowane zalecenie) oraz wstępnej oceny obecności i nasilenia powikłań hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X (CPR-XLH 2025, nie określono siły zalecenia).

Zgodnie z wytycznymi zalecana jest diagnostyka genetyczna w celu wykrycia wariantów genów powodujących hipofosfatemię, w tym PHEX (IWG 2025 [zalecenia słabe, bardzo niski poziom jakości dowodów], ESCEO 2022 [nie określono siły zalecenia]). Rozpoznanie hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X należy potwierdzić analizą genetyczną genu PHEX (CPR-XLH 2025 [umiarkowane zalecenie], CPR-XLH 2019 [umiarkowane zalecenie], ESCEO 2022 [nie określono siły zalecenia]). W sytuacji braku dostępności diagnostyki genetycznej obecność dodatniego wywiadu rodzinnego w kierunku dziedziczenia sprzężonego z chromosomem X oraz podwyższonego stężenia FGF-23 w osoczu w połączeniu z hipofosfatemią stanowi istotne kryterium wspierające rozpoznanie hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X (CPR-XLH 2025 [umiarkowane zalecenie], CPR-XLH 2019 [umiarkowane zalecenie]).

Na podstawie odnalezionych informacji dotyczących zasad realizacji i finansowania oznaczenia FGF-23 w surowicy krwi w krajach UE można zauważyć, że status refundacyjny tego badania pozostaje zróżnicowany i w większości przypadków ograniczony. Jedynie w Czechach badanie FGF-23 znajduje się w wykazie procedur refundowanych na poziomie opieki podstawowej i specjalistycznej, natomiast w pozostałych krajach (Francja, Wielka Brytania, Niemcy, Belgia) pozostaje poza zakresem finansowania ze środków publicznych.

Problem ekonomiczny

Nie zidentyfikowano analiz ekonomicznych odnoszących się do użyteczności oznaczenia stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23.

Metodykę szacowania wyceny ocenianego badania laboratoryjnego oparto na analizie cenników komercyjnych dostępnych na rynku (z uwzględnieniem, że ceny te zawierają marżę zysku podmiotów wykonujących badania – średnia po odcięciu wartości skrajnych), jak również informacji co do warunków realizacji świadczenia ujętych w karcie świadczenia opieki zdrowotnej. Na tej podstawie zaproponowano wycenę świadczenia „Oznaczenie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23” na poziomie 300 zł.

Szacowane skutki finansowe wdrożenia świadczenia „Oznaczenie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23” na podstawie: Karty Świadczenia Opieki Zdrowotnej - wyniosłyby: od 15 000 do 30 000 zł/rok, a w zakresie danych

sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ (opracowanie własne AOTMiT) - wyniosłyby:

- *w wariancie I – 0,2% występowania ciężkiej hipofosfatemii: ok. 65,9 tys. zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania i ok. 74,7 tys. zł w II roku;*
- *w wariancie II – 3,1% występowania umiarkowanej hipofosfatemii: ok. 1,0 mln zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania oraz ok. 1,2 mln zł w II roku.*

Szacunki kosztowe związane z wdrożeniem świadczeń obarczone są niepewnością, wynikającą przede wszystkim z trudnej do przewidzenia skali realizacji tego badania. Zatem prognozowane wydatki płatnika publicznego wynikające z ewentualnego wprowadzenia należy traktować z ostrożnością.

Główne argumenty decyzji:

- *Rekomendacje kliniczne odnoszą się do diagnostyki hipofosfatemii sprzężonej z chromosomem X, która jest wykonywana w ramach programu lekowego B.151.;*
- *Brak dowodów efektywności kosztowej;*
- *Brak jednolitych wartości referencyjnych dla testów laboratoryjnych;*
- *Brak refundacji w większości krajów europejskich.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.420.5.2025 „Oznaczanie stężenia czynnika wzrostu fibroblastów FGF 23”; data ukończenia: 11.12.2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 214/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
o projekcie programu „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum
płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz
ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest program „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia”, zaplanowany do realizacji w 2026 r.

W ramach programu zaplanowano działania edukacyjne, program wsparcia edukacyjno-instruktażowego „Family Booster”, szkolenia z zakresu FASD, konferencję szkoleniową dla specjalistów zajmujących się problematyką FASD, diagnostykę dzieci i młodzieży w zakresie FASD, konsultacje psychoedukacyjne z zakresu wspierania dziecka z FASD oraz grupę wsparcia dla rodziców/opiekunów dzieci i młodzieży z podejrzeniem FASD.

Projekt programu zawiera 7 grup docelowych:

- populację docelową programu w zakresie diagnostyki FASD stanowić będą dzieci i nastolatki w wieku do 18 r.ż. z podejrzeniem FASD, zamieszkujący Wrocław, wychowywani zarówno w pieczy zastępczej i rodzinach adopcyjnych, jak i w rodzinach biologicznych;*
- drugą grupą docelową w zakresie konsultacji psychoedukacyjnych będą rodzice/opiekunowie dzieci i nastolatków w wieku do 18 r.ż. z podejrzeniem FASD, będących w trakcie diagnostyki FASD prowadzonej w ramach programu;*
- trzecią grupą docelową w zakresie grupy wsparcia będą rodzice/opiekunowie dzieci i nastolatków w wieku do 18 r.ż. z diagnozą lub podejrzeniem FASD;*
- czwartą grupą docelową w zakresie działań edukacyjnych będą rodzice/opiekunowie dzieci i nastolatków w wieku do 18 r.ż. z podejrzeniem lub diagnozą FASD oraz pracownicy podmiotów mających styczność z dziećmi*

z diagnozą FASD (np. placówek opiekuńczo-wychowawczych, poradni psychologiczno-pedagogicznych, jednostek organizacyjnych pomocy społecznej);

- piątą grupą docelową w zakresie Programu wsparcia edukacyjno-instruktażowego „Family Booster” będą rodzice/opiekunowie dzieci i nastolatków w wieku do 18 r.ż. z diagnozą FASD;
- szóstą grupą docelową w zakresie szkoleń z zakresu FASD będą rodzice/opiekunowie dzieci i nastolatków w wieku do 18 r.ż. z diagnozą lub podejrzeniem FASD oraz pracownicy podmiotów mających styczność z dziećmi z diagnozą FASD (np. placówek opiekuńczo-wychowawczych, poradni psychologiczno-pedagogicznych, jednostek organizacyjnych pomocy społecznej);
- siódmą grupą docelową w zakresie działań realizowanych w ramach konferencji szkoleniowej będą specjaliści zajmujący się zawodowo problematyką FASD na terenie Wrocławia (m.in. lekarze, psychologowie, pedagodzy, terapeuci, pracownicy socjalni, fizjoterapeuci, neurologopedzi), pracownicy podmiotów mających styczność z dziećmi z diagnozą FASD (np. placówek opiekuńczo-wychowawczych, poradni psychologiczno-pedagogicznych, jednostek organizacyjnych pomocy społecznej) oraz rodzice/opiekunowie dzieci z diagnozą lub podejrzeniem FASD.

Wnioskodawca podkreślił, że w związku z ograniczeniami finansowymi miasta Wrocławia, diagnostyka FASD w roku 2026 obejmie ok. 40 osób. Następnie w treści projektu wskazano, że w ramach programu wsparcia edukacyjno-instruktażowego „Family Booster” w 2026 r. program obejmie 30 osób. Podkreślono także, że w zakresie działań realizowanych w ramach konferencji szkoleniowej, udział w niej weźmie 150 osób. Natomiast w zakresie konsultacji psychoedukacyjnych działania te obejmą ok. 40 opiekunów/rodziców dzieci biorących udział w programie. Zaznaczono także, że grupy wsparcia skierowane do rodziców/opiekunów dzieci obejmą ok. 10 osób.

Całkowity koszt PPZ został oszacowany na 271 800 zł, a jako źródło finansowania wskazano Miasto Wrocław.

Oceniany projekt programu dotyczy problemu zdrowotnego, jakim jest spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD, ang. „Fetal Alcohol Spectrum Disorders”), które występują u potomstwa kobiet spożywających alkohol w okresie ciąży.

W projekcie odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych – Bazy Analiz Systemowych i Wdrożeniowych, wskazując, że w roku 2024 w publicznym systemie opieki zdrowotnej z powodu uzależnień leczono ponad 275,5 tys. osób. W porównaniu z rokiem poprzednim (2023) odnotowano 1,5% wzrost liczby

pacjentów. Podkreślono jednocześnie, że w województwie dolnośląskim w tym samym okresie (rok 2024) w publicznym systemie opieki zdrowotnej leczono w związku z uzależnieniami 19,76 tys. osób (wzrost 1,7% w porównaniu z rokiem 2023). Zaznaczono, że wskaźnik rozpowszechnienia uzależnień w roku 2024 dla obojga płci wyniósł w Polsce 878,2/100 tys. ludności, natomiast w województwie dolnośląskim – 838,3/100 tys. ludności. Zaznaczono, że „w przypadku kobiet wskaźnik w województwie był nieznacznie wyższy, w porównaniu do kraju ogółem (469,28/100 tys. vs. 445,26/100 tys.), jednak po ograniczeniu danych do pacjentek w wieku 18-29 lat różnica ta ulega zwiększeniu na niekorzyść województwa dolnośląskiego (647,47/100 tys. vs. 527,83/100 tys.)”. Podkreślono, że przedstawione dane wyraźnie wskazują, że problem uzależnień wśród młodych kobiet w wieku rozrodczym jest w województwie dolnośląskim większy niż w kraju ogółem.

Głównym założeniem projektu programu jest zwiększenie o co najmniej 80% liczby dzieci z podejrzeniem FASD, u których w ramach działań diagnostycznych stwierdzono występowanie FASD i które zostały skierowane do dalszej diagnostyki i/lub terapii.

W treści projektu wskazano 5 celów szczegółowych, tj.:

- uzyskanie lub utrzymanie przynajmniej przeciętnego poziomu poczucia własnej skuteczności rodzicielskiej wśród co najmniej 70% uczestników programu edukacyjno-instruktażowego „Family Booster”;
- uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy w zakresie FASD wśród co najmniej 70% uczestników szkoleń z zakresu FASD;
- uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy w zakresie diagnostyki i terapii FASD wśród co najmniej 70% uczestników konferencji szkoleniowej;
- uzyskanie wysokiego poziomu satysfakcji z udzielonego wsparcia u co najmniej 70% uczestników konsultacji psychoedukacyjnych;
- uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu stosowania strategii radzenia sobie ze stresem o charakterze adaptacyjnym wśród co najmniej 70% uczestników grupy wsparcia.

W projekcie programu zaproponowano 6 mierników efektywności:

- odsetek osób biorących udział w działaniach diagnostycznych w ramach programu, u których stwierdzono występowanie FASD i które zostały skierowane do dalszej diagnostyki i/lub terapii;
- odsetek osób, u których w post-teście z zastosowaniem skali GSES lub PSOC-PL utrzymano taki sam lub zwiększono o co najmniej 1 punkt poziom poczucia własnej skuteczności rodzicielskiej, względem wszystkich osób uczestniczących w programie „Family Booster”, które wypełniły pre-test;
- odsetek osób, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (co najmniej 80% pozytywnych odpowiedzi) w zakresie FASD,

względem wszystkich osób uczestniczących w szkoleniach z zakresu FASD, które wypełniły pre-test;

- odsetek osób, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (co najmniej 80% pozytywnych odpowiedzi) w zakresie diagnostyki i terapii FASD, względem wszystkich osób uczestniczących w konferencji szkoleniowej, które wypełniły pre-test;
- odsetek osób, które po konsultacji psychoedukacyjnej zadeklarowały wysoki poziom satysfakcji z otrzymanego wsparcia (co najmniej 4/5 w skali 5-stopniowej);
- odsetek uczestników grupy wsparcia, u których w post-teście z zastosowaniem kwestionariusza Mini-COPE utrzymał się lub wzrósł poziom stosowania strategii radzenia sobie ze stresem o charakterze adaptacyjnym, w porównaniu do badania wstępnego (pre-test), w odniesieniu do wszystkich osób, które wypełniły pre-test.

Oceniany projekt programu zawiera wykaz piśmiennictwa oraz referencje bibliograficzne, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego. Realizacja programu wpisuje się w założenia m. in. Narodowego Programu Zdrowia na lata 2021-2025.

Uwagi Rady:

- konieczna jest zmiana miernika efektywności: w opisie mierników efektywności wskazano, że jako wzrost poczucia skuteczności rozumiany będzie „odsetek osób, u których w post-teście z zastosowaniem skali GSES lub PSOC-PL utrzymano taki sam lub zwiększono o co najmniej 1 punkt poziom poczucia własnej skuteczności rodzicielskiej”. Wzrost poziomu własnej skuteczności rozumiany jako taki sam lub zwiększony o co najmniej 1 punkt stanowi niewielką korzyść z programu;
- nie wskazano liczebności uczestników działań edukacyjnych i szkoleń;
- nie przedstawiono kryteriów wyłączenia dla działań edukacyjnych, dla uczestników konferencji szkoleniowej, dla grup wsparcia;
- niezbędne jest doprecyzowanie przez wnioskodawcę katalogu indywidualnych przeciwwskazań do udziału w programie;
- niezbędne jest opracowanie i dołączenie wzoru testu wiedzy do poszczególnych interwencji edukacyjno-szkoleniowych;
- konieczne jest uwzględnienie akcji informacyjno-promocyjnej w opisie etapów PPZ.

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.431.26.2025 „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia” realizowany przez: Miasto Wrocław, Warszawa, grudzień 2025 oraz Raportu nr: OT.431.81.2023 pn. „Kompleksowa diagnostyka w zakresie spektrum płodowego zespołu alkoholowego na terenie Województwa Dolnośląskiego”.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 215/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
o projekcie programu „Poprawa jakości życia u osób cierpiących
na przewlekłe choroby układu ruchu dla mieszkańców Miasta i Gminy
Połaniec na lata 2026-2030”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Poprawa jakości życia u osób cierpiących na przewlekłe choroby układu ruchu dla mieszkańców Miasta i Gminy Połaniec na lata 2026-2030”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Połaniec - „Poprawa jakości życia u osób cierpiących na przewlekłe choroby układu ruchu dla mieszkańców Miasta i Gminy Połaniec na lata 2026-2030”, który będzie realizowany w latach 2026-2030.

Program zakłada realizację indywidualnego planu rehabilitacyjnego obejmującego cykl zabiegów fizjoterapeutycznych oraz działania edukacyjne.

Populację docelową stanowią pełnoletni mieszkańcy gminy Połaniec, którzy posiadają rozpoznane choroby przewlekłe lub zapalne układu ruchu, urazu lub choroby OUN. Liczebność populacji kwalifikującej się do udziału w programie oszacowano na około 790 osób. Wnioskodawca zaznaczył jednak, że ze względu na ograniczenia finansowe, gmina planuje objąć PPZ 600 osób (corocznie ok. 120 dorosłych mieszkańców – co stanowi ok. 75% populacji docelowej).

Całkowity koszt realizacji został oszacowany na kwotę 846 000 zł (169 200 zł rocznie) i będzie finansowany ze środków gminy Połaniec (przy ewentualnym dofinansowaniu ze środków NFZ).

Projekt programu dotyczy bardzo rozległego problemu zdrowotnego, jakim jest niepełnosprawność. Wnioskodawca podkreśla, iż rehabilitacja lecznicza stanowi integralny element kompleksowego procesu terapeutycznego w przypadku schorzeń ograniczających sprawność organizmu. W ramach opisu problemu zdrowotnego wskazano na istotną rolę rehabilitacji w postępowaniu terapeutycznym. W projekcie zaznaczono, że do najczęściej występujących jednostek chorobowych wymagających rehabilitacji należą choroby przewlekłe układu ruchu, urazy oraz schorzenia obwodowego układu nerwowego.

W Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wśród wyzwań systemu opieki zdrowotnej na terenie województwa świętokrzyskiego wskazano m.in., że „pod względem liczby ośrodków na 100 tys. mieszkańców realizujących świadczenia rehabilitacyjne, województwo zajmuje drugie miejsce ze wszystkich województw. Wskaźnik ten jest wyższy o 54% w stosunku do analogicznego wskaźnika dla Polski”. Ponadto, wskazano, że „pod względem liczby porad lekarskich na 100 tys. mieszkańców województwo plasowało się dość nisko, bo na 11 pozycji ze wszystkich województw i wskaźnik dla województwa jest niższy o 40% od wskaźnika dla Polski”. Wśród rekomendowanych kierunków działań dla województwa świętokrzyskiego wskazano m.in. na „zapewnienie równomiernego, adekwatnego do potrzeb dostępu do świadczeń ambulatoryjnych w zakresie fizjoterapii ambulatoryjnej poprzez podejmowanie działań w celu uruchomienia rehabilitacji w obszarach bez zabezpieczenia”.

Głównym założeniem projektu programu jest „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie gminy w latach 2026-2030”.

Wskazano jeden cel szczegółowy, tj. „utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób obwodowego układu nerwowego oraz chorób układu ruchu u co najmniej 60% osób z populacji docelowej w latach 2026-2032”. Z kolei jako mierniki efektywności zaproponowano odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami (wyniki skali VAS – różnica pomiędzy wartością uzyskaną w pierwszym oraz ostatnim dniu otrzymania świadczeń w programie) oraz jako drugi miernik odsetek osób, u których w post-tescie odnotowano taki sam wysoki poziom wiedzy względem pre-testu (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub wzrost poziomu wiedzy o co najmniej 20% względem pre-testu.

Również eksperci kliniczni potwierdzają zasadność prowadzenia działań edukacyjnych w ramach PPZ. Powinny one dotyczyć zagadnień z zakresu: czynników ryzyka współczesnych chorób cywilizacyjnych, sposobów radzenia sobie po incydencie kardiologicznym oraz z POChP, roli aktywności fizycznej w chorobach cywilizacyjnych oraz najczęstszych dysfunkcjach narządów ruchu, profilaktyki w chorobach cywilizacyjnych, właściwej diety jako sposobu zapobiegania powstawaniu chorób cywilizacyjnych, profilaktyki upadków dla pacjentów z problemami neurologicznymi lub z osteoporozą, sposobów

radzenia sobie ze stresem i/lub instruktażu ćwiczeń do wykonywania w warunkach domowych.

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

Uwagi Rady:

- w celu głównym nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej;*
- zawarte w teście pre- i post-teście pytania nie odzwierciedlają jednoznacznie zakresu tematycznego zaplanowanych w projekcie działań edukacyjnych;*
- w odniesieniu do celu szczegółowego wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych.*

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.431.27.2025 „Poprawa jakości życia u osób cierpiących na przewlekłą chorobę układu ruchu dla mieszkańców Miasta i Gminy Połaniec na lata 2026-2030” realizowany przez: Gminę Połaniec, Warszawa, grudzień 2025 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 216/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców
Powiatu Wągrowieckiego na lata 2026-2027”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2026-2027”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem innowacyjnego urządzenia Laserobaria 2.0_S. Populację docelową programu stanowią osoby pełnoletnie, zamieszkałe na terenie powiatu wągrowieckiego, z trudno gojącymi się ranami w obrębie kończyn dolnych i górnych (do wysokości kolana lub łokcia), u których dotychczasowy schemat leczenia rany przewlekłej nie dawał oczekiwanych rezultatów (np. stopa cukrzycowa, owrzodzenia podudzi). W ramach programu zaplanowano realizację akcji informacyjnej, działań edukacyjnych oraz cykl 10 sesji zabiegowych realizowanych z użyciem technologii Laserobaria. Program ma być realizowany w latach 2026-2027. Koszt całkowity programu oszacowano w zależności od scenariusza: minimalny – 434 000 zł, bazowy – 854 000 zł lub maksymalny – 1 274 000 zł.

Programy zdrowotne (PZ)/programy polityki zdrowotnej (PPZ) z zakresu leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem innowacyjnego urządzenia Laserobaria 2.0_S były dotychczas jednokrotnie prezentowane na posiedzeniu Rady Konsultacyjnej/Przejrzystości. Był to również projekt PPZ przesłany przez powiat wągrowiecki („Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2025-2026”), który uzyskał negatywną opinię Prezesa Agencji (opinia nr 67/2025 z dnia 24 lipca 2025 r.). Główną przesłankę dla negatywnej opinii stanowił fakt, że leczenie ran przewlekłych metodą laserobarii, nie znajduje potwierdzenia w odnalezionych wytycznych. Ponadto, projekt zawierał inne uwagi wraz z informacją nt. odniesienia się do nich w obecnie ocenianym projekcie. Chorobowość ran przewlekłych dla populacji Polski wynosi około 84,6 tys.

Wnioskodawca odniósł się również do sytuacji lokalnej, wskazując, że „problem zdrowotny ran przewlekłych (trudno gojących się, o różnej etiologii) dotyczy ok. 1,5% populacji mieszkańców z terenu powiatu wągrowieckiego (...). Zatem wśród mieszkańców z terenu powiatu wągrowieckiego z problemem rany przewlekłej zmagają się ok. 1000 osób rocznie”. W projekcie zaznaczono, że „brak jest precyzyjnych danych dotyczących zgłaszalności pacjentów do leczenia ran przewlekłych poszczególnymi metodami. Dostępność i wykorzystanie tych metod zależy od wielu czynników, w tym od świadomości pacjentów i personelu medycznego, dostępności technologii oraz uwarunkowań systemowych. Dlatego w niniejszym opracowaniu przyjęto konserwatywne założenie dotyczące, iż z leczenia skorzysta ok. 20% pacjentów co odpowiada zgłaszalności pacjentów powiatu wągrowieckiego w innych programach”.

Warto wskazać, że MPZ na lata 2022-2026 nie obejmują danych dotyczących wyzwań systemu opieki zdrowotnej, a także rekomendowanych kierunków działań dla woj. wielkopolskiego w zakresie przedmiotowego problemu zdrowotnego.

Głównym celem projektu programu jest „zwiększenie odsetka pacjentów, u których odnotowano poprawę w obu wymienionych zakresach, tj.: a) edukacji – poprawa stanu wiedzy i umiejętności samoopieki mierzona „Testem wiedzy przed i po edukacji”, b) realizacji leczenia ran – poprawa stanu zdrowia w obrębie ran przewlekłych kończyn mierzona „Protokołem oceny i monitorowania leczenia ran przewlekłych”. W treści projektu wskazano również, że „osiągnięcie celu głównego jest jednoznaczne z poprawą u co najmniej 60% populacji w okresie realizacji programu (do 31.12.2027r.), poprzez wdrożenie kompleksowej opieki (leczenie + edukacja) oraz monitoring efektów, w grupie uczestniczącej w programie polityki zdrowotnej na terenie powiatu wągrowieckiego”. Przedstawiony przez wnioskodawcę cel główny został sformułowany nieprawidłowo, gdyż składa się z dwóch odrębnych założeń.

W projekcie przedstawiono również definicję „poprawy” wskazując, że w odniesieniu do edukacji będzie to „średnia różnica punktów uzyskanych w „Teście wiedzy przed i po edukacji” (Załącznik nr 7)”, a także zaznaczono, że „przyjmuje się, że różnica ta powinna wynosić co najmniej 2 punkty. W przypadku osób, które w teście wstępnym uzyskały wynik równy lub wyższy niż 8/10, za poprawę uznaje się utrzymanie wysokiego poziomu (co najmniej 8/10) lub wzrost wyniku do poziomu 9/10 lub wyższego”. Warto jednak zauważyć, że wskazany przez wnioskodawcę test wiedzy, który posłużyć ma pomiarowi stopnia realizacji celu głównego w odniesieniu do edukacji, odnosi się jedynie do poziomu wiedzy uczestników i nie obejmuje oceny umiejętności samoopieki, której poprawa również została uwzględniona w celu głównym.

W treści projektu wskazano również 3 cele szczegółowe: (1) „u co najmniej 60% uczestników osiągnąć istotny postęp gojenia do kontroli po cyklu

($\geq 30\%$ redukcji powierzchni rany lub pojawienie się ziarniny/naskórka)”, (2) „przekwalifikowanie min. 20% populacji objętej programem do standardowej opieki pielęgniarskiej” oraz (3) „wzrost wiedzy mieszkańców powiatu nt. pielęgnacji ran i zapobiegania ich powikłaniom odnotowany u min. 60% populacji zakwalifikowanej do programu”. Wszystkie przedstawione przez wnioskodawcę cele szczegółowe zostały przygotowane nieprawidłowo, gdyż stanowią powielenie założeń zawartych w ramach celu głównego.

W projekcie programu zaproponowano 8 mierników efektywności, które podzielono na 3 grupy, tj. kliniczne: (1) „odsetek pacjentów z $\geq 30\%$ zmniejszeniem powierzchni rany”, (2) „odsetek pacjentów z pojawieniem się ziarniny lub naskórka”, (3) „odsetek pacjentów ze spadkiem bólu wg skali VAS o ≥ 2 pkt”, (4) „odsetek pacjentów ze spadkiem NERDS/STONEES ≥ 1 kategorię lub brakiem cech w ocenie końcowej”, (5) „odsetek pacjentów przekwalifikowanych do opieki standardowej”, (6) „odsetek osób z kompletem pomiarów klinicznych na wejściu oraz 3 tygodnie po ukończonym cyklu”; edukacyjne: (7) „odsetek uczestników z poprawą edukacyjną”; końcowe: (8) „odsetek uczestników z poprawą w obu zakresach (kliniczny i edukacyjny)”. Przedstawione przez wnioskodawcę wskaźniki nie spełniają funkcji mierników efektywności (ze względu na nieprawidłowo sformułowane cele programu), jednak mogą zostać wykorzystane podczas monitorowania (wskaźnik nr 6) oraz ewaluacji programu (wskaźniki nr 1-5 oraz 7-8).

W ramach programu zaplanowano przeprowadzenie działań edukacyjnych oraz cyklu sesji zabiegowych realizowanych z użyciem technologii Laserobaria 2.0_S. W ramach programu realizowane będą działania z zakresu rehabilitacji leczniczej ukierunkowane na poprawę stanu miejscowego ran przewlekłych. Wnioskodawca zaznacza, że interwencja polega na zastosowaniu skojarzonej terapii fizycznej (światło czerwone, światło UV, tlenoterapia, ozonoterapia, pole magnetyczne), realizowanej z użyciem technologii Laserobaria.

W projekcie wskazano, że terapia prowadzona jest w cyklu 10 sesji zabiegowych (ok. 1 godzina każda), po których dokonywana jest ocena postępów leczenia zgodnie z „Protokołem oceny i monitorowania leczenia ran przewlekłych”.

Należy zaznaczyć, że Narodowy Fundusz Zdrowia aktualnie nie finansuje leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem metody laserobarii. Procedura taka (jako produkt wyodrębniony) nie znajduje się w obowiązującym katalogu świadczeń gwarantowanych dla osób ubezpieczonych w NFZ.

Biorąc pod uwagę ocenianą interwencję, uwzględniającą leczenie wspomagające skojarzonymi zabiegami fizykoterapeutycznymi (tj. tlenoterapia hiperbaryczna, ozonoterapia, elektromagnetoterapia PEMF, terapia światłem czerwonym i UV) należy podkreślić, że ww. zabiegi stosowane są wyłącznie w sytuacji, gdy standardowe leczenie nie przyniosło oczekiwanych rezultatów i stanowią one terapię addytywną względem leczenia standardowego, obejmującego leczenie

choroby podstawowej i leczenie ran w ostrej fazie. Ww. leczenie standardowe odnosi się do procedur medycznych wykonywanych w trakcie udzielania świadczeń w ramach Kompleksowego Leczenia Ran Przewlekłych (KLRP), do których należą m.in. zabiegi chirurgiczne, opatrunki, terapia podciśnieniowa i kompresjoterapia.

Projekt zawiera opis sposobu zakończenia udziału w programie, opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu, przedstawiono informacje nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych oraz opis akcji informacyjnej. Zgodnie z treścią PPZ, akcja informacyjna ma zostać przeprowadzona przez realizatora. Ocena zgłaszalności do programu ma być prowadzona na podstawie miesięcznych/rocznych sprawozdań realizatora. Podkreślono, że dane w ramach monitorowania zostaną pozyskane z rejestru uczestników, kart kwalifikacji/wyłączeń, harmonogramów zabiegów, protokołu oceny i monitorowania leczenia ran oraz testów wiedzy.

W projekcie przedstawiono następujące koszty jednostkowe: 2 000 zł/os. – koszt pełnego cyklu terapeutycznego, w tym: 1 840 zł/os. – koszt wizyty kwalifikacyjnej oraz 10 zabiegów terapeutycznych (w tym: badanie lekarskie, kwalifikacja uczestnika, czas personelu, materiały, opatrunki, amortyzacja urządzenia, media), 100 zł/os. – koszt wizyty kontrolnej/zakończenie (w tym: ocena efektów, test wiedzy, dokumentacja końcowa), 10 zł/os. – koszt edukacji przyłóżkowej (w tym: druk broszur i formularzy testów, edukacja prowadzona przez personel podczas zabiegu), 50 zł/os. – koszty administracyjne i ewaluacyjne (w tym: rekrutacja, obsługa RODO, rejestry, raporty), a także 7 000 zł/rok – koszt akcji informacyjnej (m.in. ogłoszenia w prasie lokalnej, komunikaty internetowe, informacje w Biuletynie Informacji Publicznej). W zależności od scenariusza, przedstawiono następujące koszty całkowite: minimalny – 434 000 zł (217 000 zł/rok), bazowy – 854 000 zł (427 000 zł/rok), maksymalny – 1 274 000 zł (637 000 zł/rok).

Program ma zostać sfinansowany z budżetu powiatu wągrowieckiego (finansowanie w 50%) oraz budżetów gmin powiatu wągrowieckiego: gminy miejskiej Wągrowiec, miasta i gminy Gołańcz, miasta i gminy Mieścisko, miasta i gminy Skoki, gminy Wągrowiec, gminy Damasławek, gminy Wapno (finansowanie w 50%).

Uwagi do projektu:

W ramach opisu danych epidemiologicznych wskazano informacje dotyczące stopy cukrzycowej, które jednak mają charakter odnoszący się jedynie do ogólnego opisu problemu zdrowotnego. Jak wspomniano, cel główny został sformułowany nieprawidłowo, gdyż składa się z dwóch odrębnych założeń. Test wiedzy, który posłużyć ma pomiarowi stopnia realizacji celu głównego w odniesieniu do edukacji odnosi się jedynie do poziomu wiedzy uczestników i nie obejmuje oceny umiejętności samoopieki, której poprawa również została

uwzględniona w celu głównym. Wszystkie przedstawione przez wnioskodawcę cele szczegółowe zostały przygotowane nieprawidłowo, gdyż stanowią powielenie założeń zawartych w ramach celu głównego. Żaden z przedstawionych wskaźników nie spełnia funkcji miernika efektywności (ze względu na nieprawidłowo sformułowane cele programu), jednak mogą zostać wykorzystane podczas monitorowania (wskaźnik nr 6) oraz ewaluacji programu (wskaźniki nr 1-5 oraz 7-8). Brakuje silnych dowodów naukowych potwierdzających skuteczność terapii addytywnych (wspomagających) w leczeniu niegojących się ran. Nie doprecyzowano specjalizacji lekarzy mogących wystawiać zlecenia na fizykoterapię z zastosowaniem urządzenia Laserobaria 2.0_S. Ewaluacja - jeden ze wskaźników nie został sformułowany prawidłowo.

Narodowy Fundusz Zdrowia aktualnie nie finansuje leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem metody laserobarii. Procedura taka (jako produkt wyodrębniony) nie znajduje się w obowiązującym katalogu świadczeń gwarantowanych dla osób ubezpieczonych w NFZ. Świadczenia gwarantowane KLRP-1 i KLRP-2 to programy Kompleksowego Leczenia Ran Przewlekłych, realizowane w Polsce i finansowane przez NFZ. Oba programy mają na celu nie tylko leczenie, ale i profilaktykę oraz edukację w zakresie ran trudno gojących się.

Duża część towarzystw naukowych podkreśla, że brakuje silnych dowodów naukowych potwierdzających skuteczność terapii addytywnych (wspomagających) w leczeniu niegojących się ran (WC 2025a, WC2025b, WC 2025c, WC 2025e, ESVS 2022, ACP 2015).

Spośród wszystkich zabiegów fizykoterapeutycznych, które obejmuje Laserobaria 2.0_S, zalecaną terapią wspomagającą leczenie niegojących się ran stanowi tlenoterapia hiperbaryczna – HBOT (SNLR 2024, PTLR 2022, WHS 2024a, WHS 2024c, ADS/DFA 2023, IWGDF 2023). Ozonoterapia (PTLR 2022, ADS/DFA 2023, IDF 2023) oraz elektromagnetoterapia (PTLR 2022, ADS/DFA 2023) nie są zalecanymi terapiami wspomagającymi leczenie owrzodzeń w przebiegu zespołu stopy cukrzycowej.

Nie odnaleziono nowych dowodów naukowych w zakresie skuteczności leczenia ran metodą laserobarii u osób z przewlekłymi, niegojącymi się ranami.

Główne argumenty decyzji

- Brak dowodów naukowych na skuteczność metody;
- Brak wytycznych klinicznych wskazujących na zasadność stosowania tej metody lub tej kombinacji metod;
- Brak rekomendacji refundacyjnych w innych krajach wskazujących na zasadność stosowania tej metody lub tej kombinacji metod.

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.431.28.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2026-2027”, realizowany przez: Powiat Wągrowiecki, Warszawa, grudzień 2025 oraz Raportu nr OT.431.56.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2025-2026” z lipca 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 217/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku
o projekcie programu „Poprawa jakości życia poprzez profilaktykę
i rehabilitację osób cierpiących na choroby układu mięśniowo-
szkieletowego, będących mieszkańcami Miasta i Gminy Osiek”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Poprawa jakości życia poprzez profilaktykę i rehabilitację osób cierpiących na choroby układu mięśniowo-szkieletowego, będących mieszkańcami Miasta i Gminy Osiek”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Osiek w latach 2026-2028, w ramach którego zaplanowano realizację cyklu zabiegów rehabilitacyjnych. Program skierowany jest do mieszkańców gminy Osiek dotkniętych chorobami układu ruchu o charakterze przewlekłym, którzy uzyskają skierowanie na zabiegi rehabilitacyjne od lekarza POZ lub specjalisty. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 240 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Osiek wraz z dofinansowaniem NFZ.

Głównym założeniem projektu programu jest „zwiększenie dostępności do zabiegów rehabilitacyjnych, skrócenie czasu oczekiwania na ich wykonanie dla mieszkańców gminy Osiek”. Cel główny został sformułowany nieprawidłowo, gdyż składa się z dwóch odrębnych założeń. Ponadto zarówno pierwsze, jak i drugie założenie celu głównego nie odnosi się do efektu zdrowotnego i nie zawiera podanej wartości docelowej, do jakiej należy dążyć.

W projekcie wskazano również 9 celów szczegółowych, które zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy – zbyt ogólny, niejednoznaczny lub w formie przypominającej planowane działania, a nie oczekiwane efekty zdrowotne. W wielu przypadkach brakuje wskazania, jaki konkretnie efekt zdrowotny ma zostać osiągnięty u uczestników oraz w jaki sposób będzie on oceniany. Nie określono także narzędzi umożliwiających pomiar ich realizacji

ani nie wskazano wartości docelowych, do których należy dążyć, ani wartości wyjściowych, które pozwoliłyby na ocenę zmiany stanu zdrowia uczestników.

Populację docelową będą stanowić mieszkańcy gminy Osiek dotknięci chorobami układu ruchu o charakterze przewlekłym, którzy uzyskają skierowanie na zabiegi rehabilitacyjne od lekarza POZ lub specjalisty. Wnioskodawca w treści projektu wskazał dwie populacje tj. przewidywaną liczbę uczestników ogółem – 250 osób i przewidywaną liczbę uczestników rocznie – 240 osób. Dodatkowo biorąc pod uwagę dane przedstawione w części dot. budżetu, programem wydaje się możliwe objęcie 240 osób.

W ramach programu zaplanowano wdrożenie cyklu zabiegów rehabilitacyjnych, w schemacie 10 dni zabiegowych po maksymalnie 5 zabiegów dziennie. Jednakże interwencje zostały opisane w sposób zdawkowy i chaotyczny. Planowane świadczenia będą udzielane przez lekarza POZ, specjalistę, fizjoterapeutę. Planowane zabiegi obejmują elektroterapię (jonoforeza, galwanizacja, prądy interferencyjne, przezskórna stymulacja nerwów (TENS), elektrostymulacja oraz prądy Träberta), magnetoterapię (pulsujące pole magnetyczne niskiej częstotliwości), laseroterapię (laser biostymulujący), światłolecznictwo (naświetlania przy użyciu lampy Sollux), zabiegi z wykorzystaniem ultradźwięków, w tym ultrafonoforezy, kinezyterapię jako formę leczenia ruchem, ukierunkowaną na przywrócenie funkcji narządu ruchu oraz poprawę sprawności funkcjonalnej pacjentów.

Nie przedstawiono w projekcie informacji o ścieżce postępowania z uczestnikiem projektu, nie zaplanowano przeprowadzenia wizyty kwalifikacyjnej ani planu terapeutycznego dobranego do indywidualnych potrzeb uczestników. W projekcie nie opisano także sposobu zakończenia udziału w programie.

Wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej (Dz.U. 2021 poz. 265 z późn. zm.). Zgodnie z Ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2025 poz. 1461), na podstawie art. 9a, w celu zaspokajania potrzeb wspólnoty samorządowej w zakresie ochrony zdrowia jednostka samorządu terytorialnego (uwzględniając w szczególności mapę potrzeb zdrowotnych, wojewódzki plan transformacji oraz dostępność do świadczeń opieki zdrowotnej na obszarze województwa) może finansować dla mieszkańców

tej wspólnoty świadczenia gwarantowane. Szczegóły dot. finansowania ww. świadczeń zostały określone w art. 9b ustawy.

Na terenie gminy Osiek umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej posiada 1 świadczeniodawca.

Projekt zawiera zdawkowy opis etapów i działań organizacyjnych planowanych w ramach realizacji programu. Realizacja programu obejmie akcję informacyjno-promocyjną, rekrutację uczestników, zaplanowanie postępowania rehabilitacyjnego, które realizuje cel skierowania oraz ocenę mierników programu.

W projekcie programu zdawkowo opisano działania informacyjne. Planowana akcja informacyjna obejmuje rozpowszechnianie informacji za pośrednictwem strony internetowej, tablicy ogłoszeń gminy, mediów społecznościowych oraz przekazywanie informacji sołtysom poszczególnych miejscowości w gminie Osiek, a także informowanie pacjentów przez lekarzy POZ i pielęgniarki środowiskowo-rodzinne.

Realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.

W programie nie przedstawiono prawidłowych wskaźników efektywności. W zakresie oceny jakości świadczeń, wnioskodawca zaznaczył jedynie, że wszyscy uczestnicy programu zostaną poinformowani o możliwości zgłaszania uwag do organizatorów badania w zakresie jakości uzyskanych świadczeń. Należy zatem podkreślić, że wnioskodawca nie zaplanował w sposób prawidłowy oceny jakości świadczeń w programie tj. anonimowej ankiety satysfakcji przeznaczanej dla każdej grupy odbiorców programu.

Wnioskodawca w treści projektu wskazał w ramach kosztów jednostkowych jedynie koszt pojedynczego zabiegu fizjoterapeutycznego tj. 20 zł. Wskazano również średni całościowy koszt na uczestnika 1 000 zł. Jednakże nie odniesiono się do kosztów akcji informacyjnej oraz przeprowadzenia monitorowania i ewaluacji. Koszt całkowity programu oszacowano na 240 000 zł.

Program w założeniu ma zostać sfinansowany z budżetu Gminy Osiek (20%) wraz z dofinansowaniem przez Świętokrzyski Oddział Wojewódzki Narodowego Funduszu Zdrowia (80%).

Biorąc pod uwagę zapisy art. 48d ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, a także liczebność populacji gminy Osiek wynoszącą 7 500 mieszkańców, należy wskazać, że niepoprawnie przyjęto założenie dotyczące dofinansowania w 80% pochodzącego z NFZ.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak odniesienia w epidemiologii do Map Potrzeb Zdrowotnych.*
- *Nieprawidłowo sformułowany cel główny jako składający się z dwóch odrębnych założeń nieodnoszących się do efektu zdrowotnego.*
- *Nieprawidłowo sformułowane cele szczegółowe*
- *Nieprawidłowo sformułowane wszystkie mierniki efektywności*
- *Zdawkowo opisane kryteria kwalifikacji do programu i nie opisano sposobu zakończenia udziału w programie*
- *Opis interwencji przedstawiono w sposób zdawkowy i chaotyczny, bez informacji o ścieżce postępowania z uczestnikiem projektu, informacji o przeprowadzeniu wizyty kwalifikacyjnej oraz planu terapeutycznego dobranego do indywidualnych potrzeb uczestników.*
- *W sposób zdawkowy opisano działania informacyjne oraz etapy i działania organizacyjne planowane w ramach realizacji programu.*
- *Nie zaplanowano w sposób prawidłowy oceny jakości świadczeń w programie tj. anonimowej ankiety satysfakcji przeznaczonych dla każdej grupy odbiorców programu.*
- *Nie uwzględniono prawidłowej ewaluacji programu.*
- *Wskazano jedynie koszt pojedynczego zabiegu fizjoterapeutycznego, nie odnosząc się do kosztów akcji informacyjnej oraz przeprowadzenia monitorowania i ewaluacji.*
- *Biorąc pod uwagę zapisy ustawy oraz liczebność populacji gminy, niepoprawnie przyjęto założenie dotyczące dofinansowania w 80% pochodzącego z NFZ.*

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 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.431.29.2025 „Poprawa jakości życia poprzez profilaktykę i rehabilitację osób cierpiących na choroby układu mięśniowo-szkieletowego, będących mieszkańcami Miasta i Gminy Osiek”; data ukończenia: grudzień 2025 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.