



DOR.001.13.2026.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 5/2026
w dniu 3 lutego 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:57.

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

1. Robert Bryzek
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Małgorzata Dziedziak
5. Elżbieta Lanc
6. Marcin Lipowski
7. Tomasz Pasierski
8. Anna Socha-Banasiak
9. Małgorzata Sznitowska

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Jacek Rubik

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Spevigo (spesolimabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, w ramach programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10 L40.0 L40.1)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Spevigo (spesolimabum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, w ramach programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10 L40.0 L40.1)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Brukinsa (zanubrutinibum) w ramach programu lekowego B.79. „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową lub chłoniaka z małych limfocytów B (ICD-10: C91.1)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Kompleksowe ambulatoryjne oraz dzienne świadczenie opieki zdrowotnej obejmujące diagnostykę i leczenie prowadzone w ramach środka zabezpieczającego psychiatrii sądowej”.

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”.
8. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Do posiedzenia dołączył Jacek Rubik,
który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Ad 2. i ad 3. Analitik Agencji omówił raport dot. leku Spevigo dla obu dróg podania.

Ad 2. cd. We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Anna Czerniecka-Kubicka, Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Dziedziak i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady dla Spevigo (koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji) przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. cd. Projekt stanowiska Rady dla Spevigo (roztwór do wstrzykiwań) przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

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

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

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Jacek Rubik i Anna Czerniecka-Kubicka.

W dyskusji Rady udział wzięli: Tomasz Pasierski, Jacek Rubik, Małgorzata Sznitowska, Anna Socha-Banasiak i Marcin Lipowski.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Jacek Rubik, Tomasz Pasierski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia dot. psychiatrii sądowej.

Głos w dyskusji zabrali: Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski, Robert Bryzek i Małgorzata Dziedziak.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Marcin Lipowski i Małgorzata Sznitowska, a przedstawił Marcin Lipowski .

W dyskusji Rady udział wzięli: Marcin Lipowski, Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował dane z opracowania dot. leku Iwlfin.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci (Dolny Śląsk).

Głos zabrał Tomasz Pasierski.

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

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

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:29.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 14/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie oceny leku Spevigo (spesolimabum) we wskazaniu:
leczenie zaostrzeń uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach
programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z łuszczycą
(ICD-10: L40.0, L40.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo (spesolimabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 450 mg, 2 fiołki, GTIN: 05909991498924, we wskazaniu: leczenie zaostrzeń uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo (spesolimabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 450 mg, 2 fiołki, GTIN: 05909991498924, we wskazaniu: leczenie zaostrzeń uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)”.

Problem zdrowotny

Łuszczycza krostkowa uogólniona (GPP, ICD-10: L40.1) jest rzadką, potencjalnie zagrażającą życiu autozapalną chorobą skóry, charakteryzującą się rozległą erupcją jałowych krost, często z objawami ogólnoustrojowymi (gorączka, złe samopoczucie, bóle stawów).

Główną przyczyną GPP jest rozregulowany układ odpornościowy, spowodowany nieprawidłowościami pojedynczego genu. Za rolę szlaku interleukiny-36 (IL-36) w procesie patogenezy GPP przemawia znalezienie mutacji utraty funkcji w genie antagonisty receptora IL-36 (IL36RN) i powiązanych genach (CARD14, AP1S3, SERPINA3 i MPO) oraz nadekspresję cytokin IL-36 w zmianach skórnych GPP.

Zróżnicowanie etniczne i geograficzne, w tym częstość występowania określonych wariantów, sugeruje zróżnicowane wzorce choroby na świecie.

GPP jest najcięższą postacią łuszczycy krostkowej, która często przebiega z objawami ogólnoustrojowymi, a w przypadku niewłaściwego leczenia może być przyczyną zgonu. Szacunkowa częstość występowania GPP wśród wszystkich

pacjentów z łuszczycą wynosi od 0,6% do 2,4%. Chociaż GPP może występować u dzieci, zwykle pojawia się w wieku dorosłym.

Przebieg kliniczny GPP może być nawracający z nawracającymi zaostrzeniami lub trwały z przerywanymi zaostrzeniami. Częstotliwość zaostrzeń różni się u poszczególnych pacjentów, a zaostrzenia mogą być samoistne lub wywoływane m.in. przez infekcje górnych dróg oddechowych, stres, leki, odstawienie leków i ciążę. Nasilenie choroby może wahać się od łagodnego do ciężkiego, a u poszczególnych pacjentów może występować różny zakres choroby, nasilenie oraz objawy skórne i pozaskórne przy każdym zaostrzeniu. Zaostrzenia wiążą się ze znacznym pogorszeniem stanu zdrowia i śmiertelnością. Obejmują m.in. gorączkę, posocznicę, zespół ostrej niewydolności oddechowej, niewydolność nerek i zastoinową niewydolność serca. Często wymagana jest hospitalizacja pacjenta. Śmiertelność waha się od 2 do 16%, a zgony przypisywane są zazwyczaj wstrząsowi septycznemu i niewydolności krążeniowo-oddechowej.

Spesolimab (Spevigo) to humanizowane antagonistyczne przeciwciało monoklonalne immunoglobuliny G1 (IgG1) blokujące przekazywanie sygnału przez ludzki receptor interleukiny 36 (IL36R). Wiązanie spesolimabu z IL36R zapobiega następowej aktywacji IL36R przez jego ligandy (IL36 α , β i γ) oraz aktywacji szlaków prozapalnych na dalszym etapie sekwencji zdarzeń.

Alternatywne technologie medyczne

Komparatorami dla Spevigo i.v. w leczeniu zaostrzeń GPP wskazanymi przez wnioskodawcę są:

- acytretyna,
- cyklosporyna, metotreksat oraz leczenie biologiczne (inhibitory IL-23, IL-12/13, IL-17 oraz TNF-alfa).

Refundowaną opcją terapeutyczną w leczeniu pacjentów z GPP jest acytretyna, która posiada wskazanie rejestracyjne w leczeniu GPP (wskazanie ogólne, nie odnosi się specyficznie do prewencji zaostrzeń) i jest dostępna w ramach refundacji aptecznej. Cyklosporyna i metotreksat zarejestrowane są w leczeniu ciężkiej łuszczycy. Terapie biologiczne dostępne są podczas hospitalizacji pacjenta i rozliczane w ramach JGP (J38 Ciężkie choroby dermatologiczne).

W warunkach polskich lekiem pierwszego rzutu jest acytretyna, w przypadku przeciwwskazań lub działań niepożądanych acytretyny, stosowana jest cyklosporyna lub metotreksat. W kolejnych liniach leczenia (II/III) stosuje się infiksymb/adalimumab.

Dowody naukowe

Do analizy skuteczności i bezpieczeństwa włączono jedno randomizowane badanie kliniczne porównujące spesolimab i.v. z placebo (Effisayil 1), trzy prace włączone w celu przeprowadzenia poszerzonej analizy skuteczności

i bezpieczeństwa (Effisayil ON, NCT05200247, Tang 2025), sześć opracowań wtórnych i siedem badań z zakresu efektywności praktycznej.

W badaniu Effisayil 1, na koniec pierwszego tygodnia wykazano istotne statystycznie różnice na korzyść spesolimabu względem placebo w zakresie odsetka pacjentów osiągających wynik 0 w podskali krost GPPGA (pierwszorzędowy punkt końcowy), osiągających całkowity wynik GPPGA wynoszący 0 lub 1, osiągających ≥ 1 - lub ≥ 2 -punktową poprawę w podskali krost GPPGA oraz całkowitym wyniku GPPGA. Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy między ramionami badania w zakresie odsetka pacjentów, u których odnotowano minimalną istotną klinicznie różnicę (MCID, ang. minimal clinically important difference) w wynikach skal służących do oceny jakości życia.

Od 8. dnia 40,0% (14/35) i 88,9% (16/18) pacjentów w grupach spesolimabu i placebo otrzymywało ≥ 1 OL spesolimabu. Do 12. tygodnia wynik w podskali krost GPPGA poprawił się o ≥ 1 lub ≥ 2 punkty od wartości początkowej u 100% (32/32) i 96,9% (31/32) pacjentów leczonych spesolimabem oraz u wszystkich pacjentów przydzielonych do ramienia placebo (Anadkat 2022).

Wyniki analizy w podgrupach wskazują, że skuteczność spesolimabu i.v. może się różnić w subpopulacjach (Burden 2023a).

Badania wtórne włączone do AKL wnioskodawcy w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa spesolimabu w leczeniu zaostrzeń GPP opierają się na jednym badaniu Effisayil 1. Wykazano, że terapia spesolimabem jest lepsza od placebo w zakresie pierwszorzędowych punktów końcowych. Akceptowalność spesolimabu nie była gorsza od placebo, a także nie było między nimi istotnych różnic.

Wyniki przeglądu systemtycznego z metaanalizą Chen 2024, którego celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa leków biologicznych w leczeniu GPP, wskazują, że inhibitory IL-36 osiągają najwyższy odsetek odpowiedzi między 4 a 8 tygodniem, podczas gdy inhibitory IL-17, inhibitory TNF-alfa i inhibitory IL-23 wykazują stopniowy wzrost odsetka odpowiedzi do 12 tygodnia. Inhibitory IL-36 osiągają 40% (95%CI: 27-54) wskaźnik odpowiedzi GPPASI75 i 55% (95%CI: 41-68) wskaźnik odpowiedzi GPPGA (0,1) w ciągu 2 tygodni, znacznie przewyższając inne leki biologiczne. Odsetek pacjentów, u których występują poważne zdarzenia niepożądane wynosi: 4% (95%CI: 0-14), 5% (95%CI: 0-14), 6% (95%CI: 0-24) i 14% (95%CI: 0-45) odpowiednio po leczeniu inhibitorami IL-17, IL-36, IL-23 i TNF-alfa.

Głównym ograniczeniem badania Effisayil 1 jest fakt, że badanie skuteczności i bezpieczeństwa spesolimabu i.v. w leczeniu zaostrzeń GPP przeprowadzono względem placebo, co istotnie odbiega od obecnej praktyki klinicznej w Polsce. W ramach przedstawionej analizy klinicznej wnioskodawcy nie odnotowano żadnych badań bezpośrednio porównujących wnioskowaną terapię

z technologiami stosowanymi w leczeniu zaostreń GPP. AKL opiera się tylko na jednym badaniu pierwotnym Effisayil 1 porównującym wnioskowaną technologię lekową z placebo. Do badania Effisayil 1 włączano pacjentów w wieku od 18 do 75 lat, natomiast populacja, w której interwencja będzie stosowana po objęciu refundacją obejmuje pacjentów w wieku 12 lat i powyżej. Brakuje dowodów skuteczności i bezpieczeństwa w populacji pacjentów w wieku 12-17 lat. Należy podkreślić, że wnioskowane wskazanie jest zgodne z zarejestrowanym wskazaniem. Włączenie młodzieży ≥ 12 lat do wskazania dla postaci i.v. jest oparte na podejściu regulacyjnym obejmującym ekstrapolację wniosków klinicznych z populacji dorosłych na młodzież ≥ 12 lat w tym samym wskazaniu oraz określenie dawkowania u młodzieży w oparciu o modelowanie i symulacje farmakokinetyczne. Wnioskodawca nie przeprowadził porównania pośredniego skuteczności spesolimabu względem analizowanych komparatorów argumentując to brakiem badań umożliwiających takie porównanie.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono cztery zagraniczne konsensusy ekspertów klinicznych dotyczących leczenia GPP (Barker 2025, Hsu 2024, Choon 2024, Rivera-Diaz 2024), przy czym tylko w dwóch (Hsu 2024, Choon 2024,) znajdują się zalecenia dotyczące rekomendowanych interwencji w leczeniu GPP, natomiast w dwóch (Barker 2025, Rivera-Diaz 2024) wymienione są możliwe opcje terapeutyczne bez formułowania konkretnych zaleceń w tym obszarze. Zidentyfikowano również PS i opinię ekspertów Marzano 2025, w której wymienione są możliwe opcje terapeutyczne w GPP.

Większość zagranicznych publikacji/wytycznych (4/5) została sfinansowana przez podmiot odpowiedzialny Boehringer Ingelheim (Marzano 2025, Barker 2025, Choon 2024, Rivera-Diaz 2024).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy terapia spesolimabem w miejsce acytretyny oraz leków biologicznych, cyklosporyny lub metotreksatu okazała się droższa i skuteczniejsza. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ znajdował się powyżej progu opłacalności i wyniósł w wariancie z RSS 2 809 425 PLN/QALY (bez RSS: 3 637 359 PLN/QALY) dla porównania z acytretyną i w wariancie z RSS 2 148 908 PLN/QALY (2 972 875 PLN/QALY bez RSS) dla porównania z lekami biologicznymi, cyklosporyną lub metotreksatem.

Analiza wpływu na budżet płatnika publicznego

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy obejmujący okres od 2026 roku. Liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym oszacowano na podstawie danych NFZ oraz informacji pochodzących z badań klinicznych.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo i.v. w wariancie podstawowym spowoduje wzrost wydatków

NFZ o [REDAKOWANE] refundacji w wariacie z RSS.

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność dotycząca liczebności populacji pacjentów, liczebności populacji docelowej oraz liczby umiarkowanych i ciężkich zaostrzeń w populacji docelowej. Eksperti kliniczni udzielający opinii Agencji w toku prac nad AWA wskazali mniejszą liczebność populacji docelowej niż wnioskodawca w wariacie najbardziej prawdopodobnym.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano 10 dokumentów dotyczących ocen i/lub rekomendacji refundacyjnych spesolimabu w leczeniu zaostrzeń GPP:

- pięć rekomendacji pozytywnych (NICE 2025, Infarmed 2025, CDA-AMC 2025, HAS 2024, HAS 2023);
- dwie negatywne (SMC 2025, Medicinrådet 2023);
- rekomendację GB-A mówiącą o braku dowodów naukowych na dodatkowe korzyści terapeutyczne spesolimabu w stosunku do standardowego leczenia tj. glikokortykosteroidy z najlepszą opieką wspomagającą (w badaniu przedstawiono porównanie spesolimabu z placebo) (GBA 2023).

W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na niepewność wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa spesolimabu, koszty leku, które są znacznie wyższe niż standardowo stosowane terapie (Medicinrådet 2023), a także na brak wystarczająco przekonujących/solidnych analiz (klinicznej i ekonomicznej) dostarczonych przez wnioskodawcę (SMC 2025).

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Spevigo i.v. jest finansowany w sześciu krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji:

- Brak badań bezpośrednich porównujących spesolimab i.v. z innymi terapiami stosowanymi w zaostrzeniach GPP.
- Brak istotnych różnic w odsetku pacjentów osiągających MCID w skalach jakości życia.
- Warunkowe dopuszczenie do obrotu przez EMA. Podmiot ma dostarczyć wyniki badania potwierdzającego 1368-0120; termin końcowych wyników wskazano na styczeń 2028 r.
- Znacząca nieefektywność kosztowa.
- Znaczący wzrost wydatków NFZ.

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 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DOWM.423.1.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Spevigo (spesolimabu i.v.) we wskazaniu: leczenie zaostrzeń uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)«”; data ukończenia: 22.01.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem LEO PHARMA sp. z o. o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b 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: LEO PHARMA sp. z o. o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 15/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie oceny leku Spevigo (spesolimabum) we wskazaniu:
zapobieganie zaostrzeniom uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP)
w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z łuszczycą
(ICD-10: L40.0, L40.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo (spesolimabum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 150 mg, 2 amp.-strzyk., GTIN: 05909991537425, we wskazaniu: zapobieganie zaostrzeniom uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP), w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo (spesolimabum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 150 mg, 2 amp.-strzyk., GTIN: 05909991537425, we wskazaniu: zapobieganie zaostrzeniom uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)”.

Problem zdrowotny

Łuszczycza krostkowa uogólniona (GPP, ICD-10: L40.1) jest rzadką, potencjalnie zagrażającą życiu autozapalną chorobą skóry, charakteryzującą się rozległą erupcją jałowych krost, często z objawami ogólnoustrojowymi (gorączka, złe samopoczucie, bóle stawów).

Główną przyczyną GPP jest rozregulowany układ odpornościowy, spowodowany nieprawidłowościami pojedynczego genu. Za rolę szlaku interleukiny-36 (IL-36) w procesie patogenezy GPP przemawia znalezienie mutacji utraty funkcji w genie antagonisty receptora IL-36 (IL36RN) i powiązanych genach (CARD14, AP1S3, SERPINA3 i MPO) oraz nadekspresja cytokin IL-36 w zmianach skórnych GPP.

Zróżnicowanie etniczne i geograficzne, w tym częstość występowania określonych wariantów, sugeruje zróżnicowane wzorce choroby na świecie.

GPP jest najcięższą postacią łuszczycy krostkowej, która często przebiega z objawami ogólnoustrojowymi, a w przypadku niewłaściwego leczenia może

być przyczyną zgonu. Szacunkowa częstość występowania GPP wśród wszystkich pacjentów z łuszczycą wynosi od 0,6% do 2,4%. Chociaż GPP może występować u dzieci, zwykle pojawia się w wieku dorosłym.

Przebieg kliniczny GPP może być nawracający z nawracającymi zaostrzeniami lub trwały z przerywanymi zaostrzeniami. Częstotliwość zaostrzeń różni się u poszczególnych pacjentów, a zaostrzenia mogą być samoistne lub wywoływane m.in. przez infekcje górnych dróg oddechowych, stres, leki, odstawienie leków i ciążę. Nasilenie choroby może wahać się od łagodnego do ciężkiego, a u poszczególnych pacjentów może występować różny zakres choroby, nasilenie oraz objawy skórne i pozaskórne przy każdym zaostrzeniu. Zaostrzenia wiążą się ze znacznym pogorszeniem stanu zdrowia i śmiertelnością. Obejmują m.in. gorączkę, posocznicę, zespół ostrej niewydolności oddechowej, niewydolność nerek i zastoinową niewydolność serca. Często wymagana jest hospitalizacja pacjenta. Śmiertelność waha się od 2 do 16%, a zgony przypisywane są zazwyczaj wstrząsowi septycznemu i niewydolności krążeniowo-oddechowej.

Spesolimab (Spevigo) to humanizowane antagonistyczne przeciwciało monoklonalne immunoglobuliny G1 (IgG1) blokujące przekazywanie sygnału przez ludzki receptor interleukiny 36 (IL36R). Wiązanie spesolimabu z IL36R zapobiega następowej aktywacji IL36R przez jego ligandy (IL36 α , β i γ) oraz aktywacji szlaków prozapalnych na dalszym etapie sekwencji zdarzeń.

Alternatywne technologie medyczne

Komparatorami dla Spevigo s.c. w zapobieganiu zaostrzeniom GPP wskazanymi przez wnioskodawcę są:

- acytretyna,
- cyklosporyna, metotreksat oraz leczenie biologiczne (inhibitory IL-23, IL-12/13, IL-17 oraz TNF- α).

Refundowaną opcją terapeutyczną w leczeniu pacjentów z GPP jest acytretyna, która posiada wskazanie rejestracyjne w leczeniu GPP (wskazanie ogólne, nie odnosi się specyficznie do prewencji zaostrzeń) i jest dostępna w ramach refundacji aptecznej. Cyklosporyna i metotreksat zarejestrowane są w leczeniu ciężkiej łuszczycy. Terapie biologiczne dostępne są podczas hospitalizacji pacjenta i rozliczane w ramach JGP (J38 Ciężkie choroby dermatologiczne).

W warunkach polskich w I/II linii leczenia stosuje się acytretynę/cyklosporynę z uwzględnieniem przeciwwskazań do terapii, a w II/III linii leczenia infiksymbab/adalimumab. Metotreksat stosowany jest u niewielkiego odsetka pacjentów.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono:

- *jedno pierwotne badanie z randomizacją, porównujące spesolimab z placebo:*
 - *Effisayil 2 (Morita 2023a, Morita 2023b, Thaci 2024, Gottlieb 2024),*
- *dwa badania mające na celu umożliwienie poszerzonej analizy skuteczności i bezpieczeństwa:*
 - *Gordon 2025 - analiza post hoc badania Effisayil 2,*
 - *Navarini 2023b - Abstrakt konferencyjny do badania Effisayil ON*

Badania te mają liczne ograniczenia:

- *Badanie skuteczności i bezpieczeństwa spesolimabu przeprowadzono względem placebo, co istotnie odbiega od obecnej praktyki klinicznej w Polsce.*
- *Istnieją różnice w charakterystyce wyjściowej pacjentów pomiędzy ramionami badania w zakresie rasy (rasa biała 30% w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu vs. 45% w ramieniu placebo), wyników GPPASI (3,92 w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 3,11 w ramieniu placebo), PSS (5,3 w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 3,6 w ramieniu placebo) i DLQI (11,1 w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 7,2 w ramieniu placebo), jednoczesnej łuszczycy plackowatej w momencie rozpoczęcia badania (23% w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 32% w ramieniu placebo), stosowania co najmniej jednej terapii biologicznej w przeszłości (20% w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 29% w ramieniu placebo). Wyższe wyniki GPPASI, PSS i DLQI w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu, wskazują na cięższy przebieg choroby w momencie randomizacji w grupie wysokiej dawki spesolimabu względem grupy placebo.*
- *Duży odsetek populacji azjatyckiej w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu (70%), co wynika z epidemiologii GPP, ale ogranicza wnioskowanie w populacji kaukaskiej.*
- *Mała liczebność populacji (31 pacjentów włączonych do grupy placebo i 30 pacjentów do grupy wysokiej dawki spesolimabu), co wynika z rzadkości choroby. Dodatkowo, 4 pacjentów (13,3%) w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu nie ukończyło badania, a 7 pacjentów (23,3%) przerwało przyjmowanie spesolimabu z powodów innych niż leczenie zaostrzeń, w tym 3 pacjentów z powodu zdarzeń niepożądanych. Mała liczba pacjentów w wieku poniżej 18 r.ż, którym podano spesolimab (n=6, po 2 w każdej grupie leczenia) oraz w wieku ≥ 65 lat (n=6, z czego 3 w ramieniu wysokiej dawki spesolimabu i 1 w ramieniu placebo), co wpływa na ograniczone wnioskowanie w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa długotrwałego stosowania spesolimabu w tej grupie pacjentów.*
- *W analizie wnioskodawcy wykorzystano dane przedstawione w postaci doniesień konferencyjnych, w tym wyniki badania Effisayil ON przedstawione tylko w postaci doniesień konferencyjnych.*

- Pacjenci włączeni do badania Effisayil 2 musieli odstawić wszystkie terapie GPP (zgodnie z protokołem, np. metotreksat, cyklosporyna i retinoidy musiały zostać przerwane w dniu randomizacji). Taki projekt badania może wywoływać zaostżenia, ponieważ odstawienie terapii podtrzymujących jest czynnikiem wywołującym nowe zaostżenia. W konsekwencji wystąpiło wiele zaostżeń w ciągu pierwszych 4 tygodni po randomizacji, zwłaszcza w grupie placebo.
- Brak danych długoterminowych – efekty utrzymywania skuteczności po 48 tygodniach są nieznane.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono cztery zagraniczne konsensusy ekspertów klinicznych dotyczących leczenia GPP (Barker 2025, Hsu 2024, Choon 2024, Rivera-Diaz 2024), przy czym tylko w dwóch (Hsu 2024, Choon 2024,) znajdują się zalecenia dotyczące rekomendowanych interwencji w leczeniu GPP, natomiast w dwóch (Barker 2025, Rivera-Diaz 2024) wymienione są możliwe opcje terapeutyczne bez formułowania konkretnych zaleceń w tym obszarze. Zidentyfikowano również PS i opinię ekspertów Marzano 2025, w której wymienione są możliwe opcje terapeutyczne w GPP.

Odnaleziono również dwie wytyczne diagnostyczno-terapeutyczne Polskiego Towarzystwa Dermatologicznego dotyczące łuszczycy u dzieci i dorosłych (PTD 2020, PTD 2021), które zawierają zalecenia odnoszące się do GPP.

Skuteczne leczenie uogólnionej łuszczycy krostkowej wymaga kompleksowego podejścia terapeutycznego, które uwzględnia zarówno cele krótkoterminowe (tj. leczenie zaostżeń), jak i długoterminowe (w tym zapobieganie przyszłym zaostżeniom) (Barker 2025).

Polskie wytyczne wskazują acytretynę jako lek z wyboru w leczeniu łuszczycy krostkowej uogólnionej u dorosłych i dzieci, bez wskazania czy chodzi o leczenie zaostżeń, leczenie podtrzymujące czy profilaktykę (PTD 2021, PTD 2020). Do leczenia biologicznego kwalifikują się pacjenci, u których rozpoznano łuszczycę plackowatą o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, łuszczycę stawową lub z inną postacią łuszczycy, która nie reaguje na dotychczas stosowane leczenie (PTD 2020).

Większość zagranicznych publikacji/wytycznych (4/5) została sfinansowana przez podmiot odpowiedzialny Boehringer Ingelheim (Marzano 2025, Barker 2025, Choon 2024, Rivera-Diaz 2024).

Problem ekonomiczny

Wartość ceny zbytu netto produktu leczniczego Spevigo (spesolimab), koncentrat 150 mg/ml x 2 amp.-strzyk. po 1 ml, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania

(wynikająca z art.13 ust.3 ustawy o refundacji) wynosi [REDAKTOWANO] Tymczasem, wnioskowana cena, uwzględniająca RSS, wynosi [REDAKTOWANO]

Analiza wpływu na budżet

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo w wariantcie podstawowym spowoduje wzrost wydatków NFZ o [REDAKTOWANO] refundacji w wariantcie z RSS.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Spevigo w wariantcie minimalnym spowoduje wzrost wydatków NFZ o [REDAKTOWANO] roku refundacji w wariantcie z RSS. Natomiast w wariantcie maksymalnym spowoduje wzrost wydatków NFZ o [REDAKTOWANO] refundacji w wariantcie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Wyszukiwanie przeprowadzono dnia 07.01.2026 r., odnajdując dwie rekomendacje pozytywne: kanadyjską (CAD-AMC 2025) i francuską (HAS 2025) oraz dwie informacje o zawieszonym ocenie (NICE 2024, NICE 2025).

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Spevigo s.c. (stan na 30.05.2025 r.) nie jest refundowany w żadnym z krajów UE i EFTA. Jest dostępny wyłącznie w jednym kraju (na 30 wskazanych) – Austrii.

Główne argumenty decyzji:

- Wątpliwa skuteczność kliniczna, szczególnie długoterminowa.
- Wątpliwości dotyczące bezpieczeństwa terapii.
- Lek Spevigo s.c. nie jest refundowany w żadnym z krajów UE i EFTA.

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 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej DOWM.423.1.2.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Spevigo (spesolimabum s.c.) we wskazaniu: zapobieganie zaostrzeniom uogólnionej łuszczycy krostkowej (GPP) w ramach programu lekowego »Leczenie chorych z łuszczycą (ICD-10: L40.0, L40.1)«”; data ukończenia: 22.01.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem LEO PHARMA sp. z o. o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b 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: LEO PHARMA sp. z o. o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 16/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie oceny leku Brukinsa (zanubrutynib) w ramach programu
lekowego: „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową
lub chłoniaka z małych limfocytów B (ICD-10: C91.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Brukinsa (zanubrutynibum), kaps. twarde, 80 mg, 120 szt., GTIN: 08720598340112, w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową lub chłoniaka z małych limfocytów B (ICD-10: C91.1)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie. Rada Przejrzystości nie zgłasza uwag do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka. Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problemem decyzyjnym jest wydanie opinii w sprawie rozszerzenia wskazań refundacyjnych dla zanubrutynibu zgodnie z projektem programu lekowego „Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową lub chłoniaka z małych limfocytów B (ICD-10: C91.1)” o dodatkowe populacje chorych:

a) w 1 linii leczenia zanubrutynibem w monoterapii u pacjentów bez względu na status delecji 17p (del17p) / mutacji w genie TP53 (mutTP53) o subpopulację FIT (usunięcie warunku wystąpienia przeciwwskazań do rozpoczęcia leczenia w 1 linii z wykorzystaniem schematu FCR (fludarabina, cyklofosfamid, rytuksymab)) oraz rozszerzenie dla całej 1. linii o populację chorych z chłoniakiem z małych limfocytów B (SLL);

b) w przypadku wystąpienia nietolerancji lub przeciwwskazań do kontynuacji leczenia danym inhibitorem BTK w monoterapii w ramach leczenia 1. linii w programie lekowym (PL) B.79 dodanie możliwości zmiany leczenia na zanubrutynib w monoterapii w ramach PL pod warunkiem, że nie stwierdza się oporności lub cech progresji choroby, a pacjent spełniał pierwotnie kryteria kwalifikacji do leczenia zanubrutynibem w ramach leczenia 1. linii.

Przewlekła białaczka limfocytowa (CLL, ang. chronic lymphocytic leukaemia) stanowi najczęściej występującą postać białaczki w Europie i Ameryce Północnej. Jest to nowotwór układu krwiotwórczego, który charakteryzuje się klonalną

proliferacją limfocytów B i ich akumulacją we krwi obwodowej, szpiku, narządach limfatycznych oraz rzadziej — pozalimfatycznych.

Światowa Organizacja Zdrowia (WHO, ang. World Health Organization) klasyfikuje CLL jako białaczkowego chłoniaka limfocytarnego, który różni się od chłoniaka z małych limfocytów B (SLL, ang. small lymphocytic lymphoma) jedynie białaczkową manifestacją. Zgodnie z klasyfikacją WHO, CLL z definicji zawsze stanowi chorobę nowotworowych limfocytów B.

Chłoniak z małych limfocytów B (SLL) to rzadsza, niebiałaczkowa postać CLL (identyczna morfologicznie i immunofenotypowo) cechująca się powiększeniem węzłów chłonnych i/lub śledziony, z limfocytozą krwi obwodowej $<5000/\mu\text{l}$, bez cytopenii spowodowanych nacieczeniem szpiku. W 20% przypadków ulega progresji do CLL. Postać chłoniakowa (SLL) stanowi mniej niż 10% przypadków CLL.

Brukina jest lekiem zawierającym substancję czynną zanubrutynib. Zanubrutynib to inhibitor kinazy tyrozynowej Brutona (ang. Bruton tyrosine kinase, BTK). Zanubrutynib tworzy wiązanie kowalencyjne z resztą cysteinową w miejscach aktywności BTK, prowadząc do zahamowania aktywności BTK. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL), produkt leczniczy Brukina jest wskazany do stosowania w monoterapii u osób dorosłych z przewlekłą białaczką limfocytową (ang. chronic lymphocytic leukemia, CLL).

Obecnie produkt Brukina podlega już finansowaniu w PL B.79 w leczeniu przewlekłej białaczki limfocytowej (w 1. linii leczenia w populacji UNFIT, 2. i kolejnych liniach leczenia).

Zanubrutynib refundowany jest również w ramach PL B.12.FM we wskazaniu: chłoniak strefy brzeżnej oraz B.146 we wskazaniu: makroglobulinemia Waldenströma.

Jako komparatory w analizach Wnioskodawcy przyjęto ibrutynib w monoterapii, akalabrutynib w monoterapii, skojarzenie: wenetoklaks + obinutuzumab oraz skojarzenie: wenetoklaks + ibrutynib. Jednocześnie odstąpiono od wyznaczania odrębnych komparatorów dla zanubrutynibu w populacji SLL, ponieważ SLL i CLL uważa się za tę samą jednostkę chorobową, a w programie lekowym B.79 wskazany kod ICD-10 (C91.1) obejmuje zarówno SLL, jak i CLL. Dodanie zapisów odnośnie do SLL ma charakter wyłącznie porządkujący i służy ujednoliceniu zapisów z obowiązującą wiedzą medyczną oraz praktyką kliniczną.

Dowody naukowe

W zakresie analizy dowodów naukowych rozpatrzono:

a) badania SEQUOIA oceniające porównanie ZAN z BEND+RTX u pacjentów bez del 17p (kohorta 1) oraz ZAN w monoterapii u pacjentów z del17p (kohorta 2),

- b) porównanie pośrednie metodą MAIC dla porównania ZAN z AKA, VEN+OBI oraz IBR,
- c) zestawienie jakościowe dla porównania ZAN z IBR i VEN+OBI w subpopulacji FIT.

Badanie SEQUOIA

- Pacjenci bez del17p

Stwierdzono istotne statystycznie wydłużenie przeżycia wolnego od progresji (PFS) u pacjentów stosujących ZAN vs BEND+RTX. W przypadku pacjentów z grupy stosującej ZAN mediana PFS nie została osiągnięta, natomiast w grupie BEND+RTX wynosiła 44,1 mies. (w ocenie badacza i bez dostosowania do Covid-19, HR=0,29 [95%CI: 0,21; 0,40], $p<0,0001$). Odsetki przeżyć wolnych od progresji w 54. i 60. mies. obserwacji były wyższe dla ZAN vs BEND+RTX. Odsetek PFS w 54. mies. obserwacji dla ZAN wynosił 80% bez dostosowania do Covid-19 oraz 83,2% z dostosowaniem do Covid-19 natomiast dla BEND+RTX wynosił odpowiednio 45% i 45,2%. Odsetek PFS w 60 mies. obserwacji dla ZAN wynosił 75,8% bez dostosowania do Covid-19 i 78,7% z dostosowaniem do Covid-19 vs dla BEND+RTX wynosił odpowiednio 40,1% oraz 40,6%.

Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic w zakresie przeżycia całkowitego (OS) pomiędzy grupą ZAN i grupą BEND+RTX. Mediana OS nie została osiągnięta żadnej z porównywanych grup (ZAN vs BEND+RTX). Szacowane odsetki przeżyć były zbliżone w obu grupach.

- Pacjenci z del17p

Mediana przeżycia wolnego od progresji (PFS) dla ZAN nie została osiągnięta w żadnej ocenianej populacji niezależnie od obecności del17p. Pozostałe wyniki dla odsetków przeżycia wolnego od progresji (PFS) w populacji z del17p były porównywalne do tych uzyskanych w populacji bez del17p. Odsetek chorych z ogólną odpowiedzią na leczenie (ORR) był istotnie statystycznie wyższy w grupie ZAN vs BEND+RTX, RR=1,10 [95%CI: 1,05; 1,16]; NNT= 12 [95%CI: 8; 23].

Wyniki dla odpowiedzi na leczenie w populacji z del17p były porównywalne do tych uzyskanych w populacji bez del17p. Zastosowanie ZAN u pacjentów z del17p pozwoliło na uzyskanie odpowiedzi na leczenie u 97% z nich (tj. 107/110 pacjentów), a u pacjentów bez del17p u 98% (tj. 235/241 pacjentów). Czas do uzyskania odpowiedzi na leczenie (TTR) wyniósł ok 3 mies., natomiast mediana czasu trwania odpowiedzi na leczenie (DoR) nie została osiągnięta (zarówno w ocenie niezależnej komisji, jak i w ocenie badacza). 30-mies. szacowane odsetki utrzymywania się odpowiedzi na leczenie wynosiły [redacted] oraz 88,1% w ocenie niezależnej komisji.

Mediana przeżycia całkowitego (OS) nie została osiągnięta. Oszacowane 5-letnie odsetki przeżyć całkowitych wynosiły ok. 85 % bez dostosowania do Covid-19 zarówno w populacji z del17p jak i bez del17p, natomiast w przypadku

dostosowania do Covid-19 odsetki OS wynosiły odpowiednio 87% u pacjentów z del17p oraz 89,4% u pacjentów bez del17p.

Analiza post-hoc badania SEQUOIA w populacji zbliżonej do FIT

Mediana obserwacji wyniosła 40,3 mies. W populacji otrzymującej ZAN wykazano wyższe odsetki PFS w porównaniu z BEND+RTX zarówno po 36 mies. (89,2% vs 57,9%), jak i po 42 mies. (87,1% vs 50,0%). W podgrupie „FIT” leczonej ZAN odnotowano korzystniejsze wyniki PFS w porównaniu z populacją ITT oraz pacjentami niespełniającymi kryteriów „FIT”:

- 36-mies. PFS: „FIT” 89,2% vs ITT 79,1% vs pacjenci niespełniający kryteriów „FIT” 84,3%,
- 42-mies. PFS: „FIT” 87,1% vs ITT 77,4% vs pacjenci niespełniający kryteriów „FIT” 82,4%.

Metoda jakościowa

Nie osiągnięto mediany przeżycia całkowitego (OS) dla żadnej z ocenianych interwencji, ani dla ZAN ani dla żadnego uwzględnionego w analizie komparatora (tj. AKA, IBR, VEN+OBI oraz VEN+IBR).

Wyniki zestawienia jakościowego dla porównania ZAN (badanie SEQUOIA, populacja UNFIT) vs:

- AKA (badanie ELEVATE-TN, populacja UNFIT);
- IBR (badanie FLAIR, populacja FIT; badanie RESONATE-2, populacja UNFIT);
- VEN+IBR (badanie GLOW, populacja UNFIT; badanie CAPTIVATE, populacja FIT);

wskazują na zbliżone wartości numeryczne w zakresie odsetków przeżycia całkowitego (OS) i odsetków przeżycia wolnego od progresji (PFS) w ciągu 36 mies., 48 mies., 54 mies., 60 mies. oraz 72 mies. obserwacji dla porównywanych terapii.

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest fakt, że w jedynym badaniu (SEQUOIA) porównującym ZAN bezpośrednio z komparatorem, nie oceniano wnioskowanej subpopulacji FIT, której dotyczy niniejsza analiza weryfikacyjna, a jedynie populację UNFIT, która jest już objęta refundacją. Ponadto, wspomniane badanie porównuje ZAN z komparatorem refundowanym w populacji UNFIT, tj. BEND+RTX (stosowany w populacji CLL u 10% pacjentów, a w populacji SLL u 100% pacjentów). Dodatkowo w badaniu SEQUOIA w kohorcie 1 (chorzy del17p-) w gr. ZAN było tylko 8% chorych (tj. 20/241 pacjentów) z potwierdzonym SLL, a w kohorcie 2 (chorzy del17p+) było tylko 10%

chorych (tj. 11/111 pacjentów) z potwierdzonym SLL, pozostali pacjenci mieli potwierdzone CLL.

Dodatkowo nie odnaleziono żadnych badań bezpośrednio porównujących ZAN z wybranymi komparatorami (tj. AKA, IBR, VEN+OBI oraz VEN+IBR) w subpopulacji pacjentów FIT.

Wytyczne kliniczne

Zalecenia leczenia w populacji FIT/UNFIT przedstawiono jedynie w wytycznych ESMO 2024 – u pacjentów FIT z mutacją IGHV i bez TP53/del(17p) preferowane są schematy z wenetoklaksem i obinutuzumabem lub ibrutynibem (samodzielnie lub w połączeniu z wenetoklaksem), a także akalabrutynib lub zanubrutynib. U pacjentów UNFIT rekomenduje się podobne opcje jednak z koniecznością oceny układu sercowo-naczyniowego przed terapią ibrutynibem (w monoterapii lub w skojarzeniu z wenetoklaksem). Pozostałe wytyczne tj.: polskie (PTHiT-PALG 2025), greckie (Greek Consensus), NCCN (2.2026) oraz Lymphoma Research Foundation 2024 nie odnoszą się do zaleceń w populacji FIT / UNFIT.

Niezależnie od obecności mutacji TP53 / delecji 17p odnaleziono wytyczne rekomendują zastosowanie inhibitorów BTKi (akalabrutynib, zanubrutynib, ibrutynib) lub tzw. ograniczone czasowo schematy immunochemii (wenetoklaks + obinutuzumab lub ibrutynib + wenetoklaks).

Problem ekonomiczny

Analizę ekonomiczną przeprowadzono z wykorzystaniem [REDAKTOWANE] dla porównań z IBR, AKA, VEN+OBI oraz VEN+IBR w horyzoncie rocznym oraz dwuletnim.

Zgodnie z przeprowadzoną przez wnioskodawcę analizą, w wariancie uwzględniającym RSS, koszty terapii lekiem Brukinsa w horyzoncie rocznym wyniosły [REDAKTOWANE] i były [REDAKTOWANE] o [REDAKTOWANE] od kosztów terapii ibrutynibem oraz [REDAKTOWANE] od terapii akalabrutynibem, natomiast terapia zanubrutynibem była [REDAKTOWANE] od terapii wenetoklaks + obinutuzumab oraz [REDAKTOWANE] od terapii wenetoklaks + ibrutynib.

Z kolei koszty terapii lekiem Brukinsa w wariancie z RSS w horyzoncie dwuletnim wyniosły [REDAKTOWANE] i były [REDAKTOWANE] od kosztów terapii ibrutynibem, o [REDAKTOWANE] od kosztów terapii akalabrutynibem oraz o [REDAKTOWANE] od kosztów terapii wenetoklaksem + obinutuzumabem, natomiast terapia zanubrutynibem była [REDAKTOWANE] od terapii wenetoklaksem + ibrutynibem.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy w wariancie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją terapii Brukinsa w ramach wnioskowanego wskazania nastąpi [REDAKTOWANE] wydatków płatnika o ok. [REDAKTOWANE] i ok. [REDAKTOWANE] [REDAKTOWANE] odpowiednio w I. i II. roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono rekomendacje 6 agencji HTA: NICE 2023 (Wielka Brytania), SMC (2023) (Szkocja), CDA-AMC 2023 (Kanada), PBAC 2023 (Australia), HAS 2023 (Francja) i IQWiG (Niemcy).

Wszystkie analizowane agencje HTA wydały rekomendacje w sprawie finansowania leku Brukinsa u uprzednio nieleczonych pacjentów z CLL. Szczegółowy zakres oceny (wskazanie / populacja) nie były jednak spójne – część z agencji HTA w rekomendacjach odnosiła się również szczegółowo do genetycznych czynników ryzyka (NICE 2023, HAS 2023, IQWiG 2023).

W pozytywnej rekomendacji NICE uznano, że zanubrutynib jest efektywny kosztowo wyłącznie w populacji pacjentów z CLL wysokiego ryzyka, czyli z delecją 17p lub mutacją TP53, a także u chorych bez del17p/mTP53 UNFIT, którzy nie mogą być leczeni schematami FCR lub BR. W tych grupach lek uznano za uzasadnioną opcję terapeutyczną.

PBAC w pozytywnej rekomendacji w 2023 stwierdzono, że zanubrutynib może być stosowany u wszystkich pacjentów uprzednio nieleczonych z CLL/SLL, nie tylko u tych, którzy nie kwalifikują się do schematów chemioimmunoterapii opartych na fludarabinie. Komisja podkreśliła równowagę zanubrutynibu względem wenetoklaksu z obinutuzumabem w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa, wskazując przy tym konieczność wprowadzenia instrumentu dzielenia ryzyka oraz dopasowania kosztów do poziomu komparatora.

Komitety SMC w 2023 r. wydał rekomendację pozytywną, jednakże pod warunkiem zawężenia populacji. Uznano, że zanubrutynib stanowi dodatkową opcję terapeutyczną w klasie inhibitorów kinazy tyrozynowej Brutona u pacjentów z CLL niekwalifikujących się do leczenia chemioimmunoterapią. Lek uznano za wartościowe rozszerzenie opcji terapeutycznych dostępnych w grupie inhibitorów BTK.

Kanadyjska agencja CDA-AMC w 2023 r. przedstawiła pozytywną, lecz warunkową rekomendację. Uznała, że zanubrutynib może stanowić alternatywę dla pacjentów z wcześniej nieleczoną CLL, zwłaszcza u chorych, którzy nie kwalifikują się do terapii opartych na fludarabinie. Zwrócono uwagę na korzystny profil bezpieczeństwa oraz wygodę stosowania leku, podkreślając jednocześnie, że jego cena powinna być niższa niż koszt terapii ibrutynibem lub akalabrutynibem.

Francuska agencja HAS w 2023 r. pozytywnie oceniła zanubrutynib, lecz wyłącznie w określonych subpopulacjach. Za zasadne uznano jego stosowanie u pacjentów z del17p lub mutacją TP53, a także u osób bez tych zaburzeń genetycznych, które jednocześnie nie kwalifikują się do pełnej dawki fludarabiny. HAS wskazała, że w pozostałych grupach brak jest wystarczających dowodów na istotną korzyść kliniczną. Terapia została zakwalifikowana do pełnego poziomu finansowania.

W ocenie IQWIG wykazano niewymierną, ale obecną dodatkową korzyść terapeutyczną zanubrutynibu w porównaniu ze schematem bendamustyna z rytuksymabem, jednak dotyczyło to wyłącznie pacjentów uprzednio nieleczonych, bez wysokiego ryzyka genetycznego oraz niekwalifikujących się do terapii FCR. W grupach chorych kwalifikujących się do FCR lub posiadających czynniki wysokiego ryzyka nie stwierdzono dodatkowych korzyści wynikających ze stosowania leku.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, lek Brukinsa jest refundowany w 23 krajach UE i EFTA.

Główne argumenty decyzji:

- *Udowodniona skuteczność;*
- *Porównywalny profil bezpieczeństwa;*
- *Wytyczne towarzystw naukowych;*
- *Pozytywne lub warunkowo pozytywne rekomendacje refundacyjne;*
- *Refundacja leku w 23 krajach UE i EFTA;*
- *Uproszczenie i urealnienie zapisów programu lekowego;*
- *Niewielki wpływ na budżet płatnika, możliwe oszczędności.*

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 z późn. zm.), 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 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.423.2.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Brukinsa (zanubrutynib) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową lub chłoniaka z małych limfocytów B (ICD-10: C91.1)«”; data ukończenia: 23.01.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BeOne Medicines Poland sp. z o. o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b 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: BeOne Medicines Poland sp. z o. o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 17/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji kompleksowego ambulatoryjnego
oraz dziennego świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego
diagnostykę i leczenie prowadzone w ramach środka
zabezpieczającego psychiatrii sądowej jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie kompleksowego ambulatoryjnego oraz dziennego świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego diagnostykę i leczenie prowadzone w ramach środka zabezpieczającego psychiatrii sądowej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności wprowadzenia do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień, kompleksowego ambulatoryjnego oraz dziennego świadczenia opieki zdrowotnej obejmującego diagnostykę i leczenie prowadzone w ramach środka zabezpieczającego psychiatrii sądowej. Populacją docelową świadczenia są osoby pełnoletnie z zaburzeniami psychicznymi i zaburzeniami zachowania (ICD-10: F00–F99), wobec których został orzeczony środek zabezpieczający w postaci terapii lub terapii uzależnień - na podstawie art. 93a § 1 pkt 2 i 3 ustawy z dnia 6 czerwca 1997 r. – Kodeks karny (Dz. U. z 2025 r. poz. 383 z późn. zm.).

Zaburzenia psychiczne i zaburzenia zachowania mogą istotnie zwiększać ryzyko naruszenia porządku prawnego. W polskim prawie karnym wyodrębniono środki zabezpieczające, w tym środki nieizolacyjne o charakterze leczniczym, obejmujące terapię i terapię uzależnień; mają one charakter prewencyjny i podlegają okresowej ocenie przez sąd. Aktualny system nie zapewnia skoordynowanej i ustrukturyzowanej opieki ambulatoryjnej i dziennej dla pacjentów dorosłych z orzeczonym środkiem zabezpieczającym w postaci terapii i terapii uzależnień.

Proponowane rozwiązanie, według zgłaszającego, ma zapewnić świadczeniobiorcy: realizację świadczeń bliżej miejsca zamieszkania,

ograniczenie orzekania izolacyjnego środka zabezpieczającego tylko do sprawców najpoważniejszych czynów zabronionych, skrócenie czasu oczekiwania na leczenie oraz skrócenie pobytu osób chorych psychicznie w warunkach aresztu tymczasowego. Skutkiem przedmiotowego rozwiązania ma być przesunięcie części świadczeń realizowanych w trybie stacjonarnym na świadczenia opieki ambulatoryjnej.

Świadczeniem alternatywnym dla wnioskowanego jest aktualna praktyka, w której opieka psychiatryczna, w ramach środka zabezpieczającego, realizowana jest w systemie psychiatrii ogólnej, w trybie ambulatoryjnym finansowanym ze środków publicznych. Wobec powyższego, oceniane świadczenie odnosi się przede wszystkim do nowego rozwiązania organizacyjnego, ale obejmuje interwencje, które aktualnie stanowią świadczenia gwarantowane.

Dowody naukowe

Proponowane w KŚOZ procedury jednostkowe składające się na świadczenie kompleksowe są świadczeniami gwarantowanymi opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień, finansowanymi ze środków publicznych. W związku z tym odstąpiono od pełnej analizy klinicznej skuteczności i bezpieczeństwa. Ocenę zasadności warunków realizacji świadczenia oparto na przeglądzie wytycznych klinicznych, rozwiązań międzynarodowych, analizie uwarunkowań prawnych oraz opinii ekspertów klinicznych.

Odnaleziono 6 wytycznych praktyki klinicznej oraz standardów postępowania z lat 2006–2025, które odnoszą się do systemu diagnostyki i leczenia sprawców przestępstw w warunkach wolnościowych (NHS Scotland 2014; RCPSYCH 2021, RCPSYCH 2025; EPA 2018; CAPL 2021; AHMC 2006). Wytyczne wskazują na zasadność wdrażania u pacjentów opieki środowiskowej i ambulatoryjnej. Konieczna jest skuteczna komunikacja między systemami zdrowia, wymiaru sprawiedliwości i penitencjarnymi. Leczenie sprawców przestępstw w warunkach wolnościowych wymaga podejścia wielodyscyplinarnego - współpracy lekarzy psychiatrów, psychologów, terapeutów, personelu pielęgniarstwa oraz specjalistów wsparcia psychospołecznego. Proces ten obejmuje też obowiązek przekazywania sądowi informacji o przebiegu i efektach leczenia. Szczególną rolę odgrywa systematyczna ocena ryzyka zachowań przemocowych oparta na sformalizowanych narzędziach.

Analiza rozwiązań międzynarodowych wskazuje, że ambulatoryjne środki zabezpieczające o charakterze leczniczym są standardowym elementem systemów ochrony zdrowia psychicznego i prewencji kryminalnej. W większości państw leczenie prowadzone jest przez multidyscyplinarne zespoły, w oparciu o indywidualne plany leczenia. Finansowanie ambulatoryjnych środków

zabezpieczających odbywa się przede wszystkim ze środków publicznych (resortów ministerstw i/lub towarzystw ubezpieczeniowych).

Analiza uwarunkowań prawnych oraz danych sprawozdawczych NFZ wskazuje na brak szczegółowych uregulowań, dotyczących wzajemnych powiązań i aspektów organizacyjnych w zakresie realizacji świadczeń wobec pacjentów z orzecznym środkiem zabezpieczającym (terapia i terapia uzależnień), pomiędzy płatnikiem (NFZ) a Ministerstwem Sprawiedliwości. Dodatkowo, doświadczenia ze zbliżonym ambulatoryjnym świadczeniem kompleksowym dla sprawców przestępstw wobec których orzeczono terapię, pn „Program terapii zaburzeń preferencji seksualnych”, którego sprawozdawczość jest zdecydowanie poniżej oczekiwań, pomimo formalnej wyceny, szerokiego wachlarza zakresu świadczenia, co wskazuje na niskie zainteresowanie świadczeniodawców. W związku z czym należy zaproponować inną międzyresortową formę wsparcia obejmującego zarówno świadczenia zdrowotne jak i pomoc społeczną, resocjalizację.

W opinii ekspertów klinicznych, wolnościowy środek zabezpieczający, zapewnia ciągłość leczenia po opuszczeniu oddziałów psychiatrii sądowej, zwłaszcza po długotrwałej hospitalizacji. W obecnym systemie opieki nad osobami objętymi środkiem zabezpieczającym w formie terapii - obejmującym m.in. aspekty organizacyjne, systemowe i finansowe – stwierdza się istotne braki. Brak dedykowanego świadczenia oraz wyodrębnionej ścieżki pacjenta skutkuje opóźnieniami, niewystarczającym nadzorem nad realizacją środka zabezpieczającego oraz dezorganizacją procesu terapeutycznego. W Polsce brakuje jednolitych, wdrożonych systemowo, standardów oceny ryzyka zachowań agresywnych i czynników ochronnych, co prowadzi do znacznej heterogeniczności stosowanych praktyk. Wg ekspertów, koszt opieki w psychiatrii sądowej jest wyższy niż w psychiatrii ogólnej, z uwagi na specyfikę pacjentów wymagających opieki kompleksowej, monitorowania postępów leczenia, oceny ryzyka oraz współpracy z sądami.

Problem ekonomiczny

Wprowadzenie ocenianego świadczenia do rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień wiąże się z dodatkowymi kosztami dla płatnika publicznego we wszystkich latach analizy. Koszty inkrementalne w latach 2026–2028 wariantu podstawowego wyniosą odpowiednio, łącznie dla terapii i terapii uzależnień: w 1. roku 31 667 273 zł, w 2. roku 35 058 669 zł i w 3. roku 38 452 185 zł. Wzrost wynika ze zwiększającej się prognozowanej liczby pacjentów i z wyższego szacowanego kosztu produktów jednostkowych rozliczanych u pacjentów psychiatrii sądowej z orzecznym środkiem zabezpieczającym.

Główne argumenty decyzji:

- *Zaproponowane rozwiązanie nie zapewnia skoordynowanej, ustrukturyzowanej opieki ambulatoryjnej i dziennej we wnioskowanej populacji z możliwością jej monitorowania.*
- *Duże obciążenie finansowe dla NFZ.*

Uwaga Rady

Dla skutecznej realizacji zakładanych celów środków zabezpieczających (w szczególności w związku ze zidentyfikowanymi problemami systemowymi, organizacyjnymi i finansowymi) należy rozważyć wdrożenie działań międzyresortowych, wspomagających skuteczną realizację ambulatoryjnej opieki psychiatrycznej i leczenia uzależnień sprawców przestępstw.

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 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DMiOSZ.420.1.2025 „Kompleksowe ambulatoryjne oraz dzienne świadczenie opieki zdrowotnej obejmujące diagnostykę i leczenie prowadzone w ramach środka zabezpieczającego psychiatrii sądowej”; data ukończenia: 28.01.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 18/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
leku Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie
podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Iwilfin (eflornithine), tabletki we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji.

Neuroblastoma jest złośliwym nowotworem, który objawia się guzem lub masami guzowatymi w obrębie jamy brzusznej albo wokół rdzenia kręgowego, klatki piersiowej, szyi lub miednicy. Jest to jeden z najczęstszych nowotworów wieku dziecięcego i stanowi ok. 5-7% wszystkich nowotworów dziecięcych. Dotyczy przede wszystkim małych dzieci, średni wiek, w którym stawiane jest rozpoznanie wynosi 2 lata. Rocznie stwierdza się 6-11 zachorowań na 1 mln dzieci w wieku 0-15 lat, 50% guzów występuje przed 2 r.ż., a 90% przed 5 r.ż. W Polsce rozpoznaje się rocznie około 60-70 nowych zachorowań.

W leczeniu neuroblastoma stosuje się standardową wielolekową chemioterapię, zabieg chirurgiczny, chemioterapię mieloablacyjną oraz autologiczne przeszczepienie macierzystych komórek krwiotwórczych, radioterapię, a także leczenie tzw. choroby resztkowej. Do grupy nerwiaków zarodkowych współczulnych o wysokim stopniu ryzyka kwalifikuje się dzieci > 1 r.ż. gdy występuje: rozsiana choroba (4. stopień INSS), stopień 2. lub 3. INSS z amplifikacją protoonkogenu N-Myc.

Zalecany protokół leczenia dzieci z nerwiakiem wysokiego ryzyka składa się z kilku etapów: krótko trwającej intensywnej chemioterapii indukcyjnej, pobrania macierzystych komórek krwiotwórczych z krwi obwodowej, próby całkowitej resekcji guza pierwotnego, terapii mieloablacyjnej z następowym przetoczeniem

komórek krwiotwórczych SCT, a potem napromienianiu miejsca, w którym był zlokalizowany guz pierwotny, a następnie przeprowadzenia tzw. choroby resztkowej izotretynoing (może być w połączeniu z immunoterapią).

Na rokowanie w przebiegu neuroblastomy wpływa wiele czynników. Dzięki wdrożeniu odpowiedniego leczenia, wskaźnik 5-letniego przeżycia u dzieci poniżej 1 roku życia wynosi ok. 90%, a u dzieci powyżej 1 roku życia ok. 65%.

Oceniane wskazanie obejmuje leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji. Jedynym lekiem dla tego wskazania, wymienianym w wytycznych NCCN 2025, jest eflornityna. Jako alternatywne postępowanie zalecana jest obserwacja pacjenta.

Produkt leczniczy Iwilfin nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Lek nie posiada rejestracji EMA (brak danych potwierdzających skuteczność - ograniczenia badania klinicznego NMTRC003/NCT02395666, wątpliwości co do jakości i wytwarzania leku).

Dowody naukowe

Dane dotyczące skuteczności zastosowania leku Iwilfin w leczeniu podtrzymującym nawrotowej neuroblastoma w remisji są skąpe. Badanie pierwotne NMTRC003, w którym przeprowadzono ocenę skuteczności terapii DFMO jako terapii podtrzymującej neuroblastoma wysokiego ryzyka, względem historycznej grupy kontrolnej wykazało IS różnice na korzyść DFMO stosowane jako terapia podtrzymująca, względem braku terapii (historyczna grupa kontrolna) dla EFS i OS. Stosowanie leku Iwilfin (Eflornithine) wiąże się z ryzykiem wystąpienia powikłań, takich jak utrata słuchu, zapalenie ucha środkowego, gorączka, zapalenie płuc oraz biegunka.

Wytyczne kliniczne NCCN 2025 uwzględniają ocenianą technologię medyczną. Panel NCCN ds. nerwiaka niedojrzałego sugeruje, aby lekarze omawiali z pacjentami i ich rodzinami eflornitynę jako opcję terapii kontynuacyjnej (zalecenie kategorii 2B). SIOPEN popiera stosowanie eflornityny zgodnie z rejestracją FDA oraz w ramach programu szybkiego dostępu (EAP) wszędzie tam, gdzie program jest dostępny, a równocześnie zobowiązuje się do systematycznego gromadzenia danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa w ramach badania HR-NBL2.

W swoich opiniach eksperci kliniczni nie przedstawili jednoznacznego stanowiska ws. stosowania ocenianej technologii medycznej. Zwrócili uwagę, iż aktualnie nie są dostępne inne leki możliwe do zastosowania w ocenianym wskazaniu. Jednocześnie podkreślają brak wysokiej jakości dowodów potwierdzających skuteczność eflornityny w tej populacji pacjentów oraz bardzo wysokie koszty terapii.

Problem ekonomiczny

Prognozowane wydatki na finansowanie lwilfin w ramach importu docelowego wynoszą rocznie dla 1 pacjenta od 0,5 mln PLN do 1 mln PLN (w zależności od przyjętego dawkowania).

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wysokiej jakości danych naukowych potwierdzających skuteczność terapii.*
- *Wątpliwy profil bezpieczeństwa.*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.4211.2.2025 „lwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji”; data ukończenia: 29.01.2026 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 16/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych
społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest PPZ zaplanowany do realizacji przez Województwo Dolnośląskie. Program skierowany do dzieci w wieku od 0 do 18 r.ż. zamieszkujących teren Dolnego Śląska pochodzących z grup defaworyzowanych z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju (1500 osób) oraz ich opiekunów prawnych, opiekunów, wychowawców zatrudnionych w ośrodku, w którym przebywa dziecko (1500 osób).

Czas realizacji – 36 miesięcy.

Budżet programu – 4 032 254 zł (po 1 344 118 zł rocznie).

Źródła finansowania : środki JST – Narodowy Fundusz Zdrowia, budżet Państwa, środki UE.

Interwencja obejmuje:

- *działania promujące program;*
- *konsultacje w ramach e-konsylium specjalistów przyspieszające postawienie właściwej diagnozy i uruchomienie postępowania terapeutycznego;*
- *ustalenie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej z zakresu opieki spersonalizowanej;*
- *diagnostyczne świadczenia zdrowotne dla dzieci objętych opieką: szeroko przepustowe badania genetyczne metodą NG5 (około 100 badań rocznie), USG serca, USG przeziemiączkowe, USG jamy brzusznej, USG szwów czaszkowych, USG kanału kręgowego (około 50 badań rocznie), specjalistyczne badania okulistyczne (około 50 badań okulistycznych);*
- *konsultacja i diagnoza terapeutyczna (lekarz rehabilitacji lub fizjoterapeuta);*

- *wsparcie psychologiczne dziecka, opiekunów w formie konsultacji osobistej lub teleporady (około 650 konsultacji psychologicznych rocznie, około 100 diagnoz rocznie) w zakresie wsparcia pacjenta i opiekuna;*
- *diagnoza neurozwoju: diagnoza SI, ADOS-2, psychologiczna (łącznie - 750 konsultacji rocznie), fizjoterapeutyczna (około 100 konsultacji na rok), logopedyczna (około 100 konsultacji na rok).*

Eksperti kliniczni są zgodni, jeśli chodzi o potrzebę diagnozowania zaburzeń rozwojowych, wykonywania badań przesiewowych oraz wdrażania procesu terapeutycznego. Na terenie Województwa Dolnośląskiego funkcjonuje 378 podmiotów leczniczych, które posiadają umowę z NFZ na realizację z zakresu AOS, 637 w zakresie POZ oraz 159 podmiotów z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Uwagi Rady:

- *Nie przedstawiono jednego problemu zdrowotnego, a szeroki zakres problemów zdrowotnych odnoszących się do wad rozwoju oraz chorób rzadkich w populacji niemowląt, dzieci i młodzieży;*
- *Cel główny został sformułowany nieprawidłowo, nie odnosi się do efektu zdrowotnego;*
- *Większość celów szczegółowych została sformułowana nieprawidłowo, w postaci działania;*
- *Większość przedstawionych wskaźników nie spełnia funkcji mierników efektywności, mogą natomiast zostać wykorzystane podczas monitorowania. Wskaźnik nr 9 został zaprojektowany nieprawidłowo;*
- *Wnioskodawca przedstawił bardzo szeroki katalog „wrodzonych zaburzeń lub podejrzeń wrodzonych zaburzeń”, na podstawie których uczestnicy będą włączeni do programu. Zapis dotyczy włączenia do programu wydaje się nieprecyzyjny;*
- *Nie przedstawiono zapisu dotyczącego zabezpieczenia ryzyka podwójnego finansowania świadczeń;*
- *Akcja informacyjna została opisana ogólnikowo;*
- *Szeroki zakres działań diagnostycznych oraz interwencyjnych skierowany jest do dzieci i młodzieży znajdującej się pod opieką medyczną (dzieci objęte hospitalizacją oraz świadczeniami AOS);*
- *Część przedstawionych wskaźników monitorowania odnosi się bardziej do ewaluacji;*
- *Ankieta satysfakcji budzi zastrzeżenia;*
- *Wskaźniki dotyczące procesu ewaluacji zostały w większości sformułowane nieprawidłowo (na podstawie mierników efektywności do celów szczegółowych);*

- *Nie przedstawiono kosztów monitorowania programu;*
- *Nie wskazano kosztów jednostkowych poszczególnych USG, a jedynie ogólny koszt USG oszacowany na kwotę 250 zł na osobę.*

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 późn. zm.), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.431.43.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”; data ukończenia: styczeń 2026 r. oraz Aneksów: „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r., „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r., „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z października 2021 r., „Programy z zakresu opieki nad kobietą ciężarną i w położu ze szczególnym uwzględnieniem edukacji przedporodowej (szkoły rodzenia) – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2021 r. oraz Raportów: nr OT.431.54.2025 pn. „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebownik w latach 2025-2029” z lipca 2025 r., nr DPPZ.431.26.2025 pn. „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia” z grudnia 2025 r., nr OT.431.101.2024 pn. „Program poprawy opieki nad matką i dzieckiem w województwie opolskim w latach 2025-2027” ze stycznia 2025 r.