



DOR.401.24.2025.PP

**Protokół z posiedzenia  
Rady Przejrzystości 8/2026  
w dniu 23 lutego 2026 roku  
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Małgorzata Dzedziak
2. Katarzyna Galas
3. Paweł Grzesiewski
4. Roman Junik
5. Marcin Kołakowski
6. Tomasz Pasierski
7. Anna Socha-Banasiak
8. Małgorzata Sznitowska
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Małgorzata Bała

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 Agamree (vamorolonum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a (DMD) (ICD-10: G71.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Polfixa (apixabanum) we wskazaniu: zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u dorosłych pacjentów z niezastawkowym migotaniem przedsionków z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka, takim jak przebyty udar mózgu lub przemijający napad niedokrwienności (ang. transient ischaemic attack, TIA); wiek  $\geq 75$  lat; nadciśnienie tętnicze; cukrzyca; objawowa niewydolność serca (klasa wg NYHA  $\geq$  II).
4. Przygotowanie opinii w sprawie wprowadzenia kompleksowych zmian w treści programu lekowego pn. „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (ICD-10 I27, I27.0)”.

5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, cytrulinemia, deficyt CPS1, hiperamonemia typu II (deficyt OTC), choroba syropu klonowego, argininobursztynuria, deficyt beta – ketotiolazy, homocystynuria .
6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej sunitinibum (załącznik C.88.b.) we wskazaniu pozarejestacyjnym: u dorosłych pacjentów z histologicznie potwierdzonym: zaawansowanym lub przerzutowym nieoperacyjnym mięsakiem pęcherzykowym (alveolar soft part sarcoma), samotnym guzem włóknistym (solitary fibrous tumor), a także u wcześniej poddanych chemioterapii pacjentów z mięsakiem naczyniowym (angiosarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia – przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego.
7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej everolimusum (załącznik C.91.a.) we wskazaniach: nowotwór w stadium zaawansowanym, udokumentowane niepowodzenie wcześniejszego leczenia z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych (jedna albo dwie linie) lub udokumentowane niepowodzenie wcześniejszego leczenia z zastosowaniem immunoterapii albo immunoterapii i inhibitorów kinaz tyrozynowych.
8. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Anna Socha-Banasiak zadeklarowała konflikt interesów odnoszący się do środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu jej z głosowania w ramach pkt. 5 porządku obrad.

Małgorzata Sznitowska zadeklarowała konflikt interesów odnoszący się do leku Poltixa, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu jej z głosowania w ramach pkt. 3 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

**Ad 2.** Analityk Agencji omówił raport dot. leku Agamree.

W trakcie prezentacji do posiedzenia dołączyła Małgorzata Bała, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Sznitowska, Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Małgorzata Sznitowska i Małgorzata Bała.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Sznitowska i Małgorzata Bała.

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

Małgorzata Bała opuściła posiedzenie.

**Ad 3.** Analityk Agencji omówił raport dot. leku Polfixa.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak, Marcin Kołakowski, Roman Junik i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Roman Junik i Małgorzata Dziedziak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Dziedziak i Roman Junik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, 1 głosem „przeciw” oraz 1 głosem „wstrzymującym”, z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

**Ad 4.** Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. wprowadzenia kompleksowych zmian w treści programu lekowego pn. „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego”.

Projekt opinii Rady przedstawił Tomasz Pasierski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” i 1 głosem „przeciw” (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P.

Projekt stanowiska Rady przedstawiła Katarzyna Galas.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” i 1 głosem „wstrzymującym”, z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (9 osób obecnych) uchwaliła stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Anna Socha-Banasiak przedstawiła projekt opinii dot. substancji czynnej sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

**Ad 7.** Marcin Kołakowski przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej everolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Prowadzący doprecyzował treść uchwały, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (9 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 8.** Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:38.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 25/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku  
w sprawie oceny leku Agamree (wamorolon) w ramach programu  
lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a  
(DMD) (ICD-10: G71.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml, 1 butelka, GTIN: 07640137910303, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a (DMD) (ICD-10: G71.0)”.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Dystrofie mięśniowe (miopatie dystroficzne) (ICD-10: G71.0) cechują się zwyrodnieniem i zanikiem mięśni w następstwie uwarunkowanych genetycznie defektów różnych składników komórek mięśniowych. Dystrofie mięśniowe Duchenne’a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) to jeden z typów tego schorzenia kategoryzowany jako dystrofinopatie. To ciężkie, postępujące schorzenie nerwowo-mięśniowe, które jest ostatecznie śmiertelne. Występuje prawie wyłącznie u mężczyzn (recesywne zaburzenie sprzężone z chromosomem X), przy szacowanej częstości występowania wśród męskich urodzeń wynoszącej od 1 na 3500 do 1 na 9300 przypadków. Według ekspertów w Polsce populacja pacjentów, których dotyczy wnioskowane wskazanie wynosi od ok. 500 do ok. 960 osób, a liczba nowych zachorowań w ciągu roku wynosi ok 30-40/rok. Utrata niezależności chodzenia występuje pomiędzy 6 a 13 rokiem życia ze średnią 9,5 roku życia u pacjentów nie leczonych steroidami. Pacjenci z DMD żyją krócej niż populacja generalna przy medianie długości życia wynoszącej ok. 30 lat. Nieleczeni pacjenci umierają z powodu niewydolności oddechowej i kardiomiopatii.*

*W leczeniu DMD stosowane są glikokortykosteroidy, głównie prednizon/prednizolon lub deflazakort. Glikokortykosteroidy są stosowane w leczeniu DMD pozarejestacyjnie. Deflazacort jest finansowany w DMD w ramach importu docelowego na podstawie indywidualnych zgód. 6 czerwca*

2025 r. zarejestrowano w UE (warunkowa zgoda) Duvyzat, zawierający substancję czynną givinostat (inhibitor deacetylazy histonowej) ze wskazaniem do leczenia DMD u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami.

Wamorolon jest dysocjacyjnym kortykosteroidem, który selektywnie wiąże się z receptorem glikokortykoidowym, co wywołuje działanie przeciwzapalne poprzez hamowanie transkrypcji genów za pośrednictwem NF- $\kappa$ B, lecz prowadzi do mniejszej aktywacji transkrypcyjnej innych genów. Dokładny mechanizm, poprzez który wamorolon wywiera swoje działanie terapeutyczne u pacjentów z DMD, nie jest znany. Pierwsze pozwolenie na dopuszczenie do obrotu leku Agamree zostało wydane 14 grudnia 2023 r. Wskazanie zarejestrowane dotyczy zastosowania leku Agamree w leczeniu DMD u pacjentów w wieku 4 lat i starszych. Wnioskowane wskazanie dla leku Agamree jest węższe i dotyczy zastosowania leku Agamree w leczeniu DMD u pacjentów bez utraty zdolności HTMF (hand-to-mouth function) lub bez rozpoznania nocnej niewydolności oddechowej (tzw. late non-ambulatory stage) wymagających nieinwazyjnej wentylacji (NIV) powyżej 16 godzin na dobę.

Aktualnie produkt Agamree jest finansowany ze środków publicznych jedynie w ramach importu docelowego (indywidualne zgody).

#### Dowody naukowe

Jako komparatory przyjęto prednizon (PDN) oraz deflazakort (DFZ). Analizę skuteczności klinicznej i praktycznej oraz bezpieczeństwa oparto na wynikach badań: VISION-DMD po 24 tyg. (121 chorych), VISION-DMD przedłużonej fazy do 30 miesięcy (48 chorych), porównania pośredniego z dostosowaniem populacji MAIC (wyniki prezentowane w formie posterów) oraz na niepublikowanych wynikach [redacted] i trwającego badania [redacted]. Pod uwagę wzięto również 5 przeglądów systematycznych z metaanalizą (Elhalag 2023, Wang 2024, Ibrahim 2025, Pascual-Morena 2024, Javed 2025) obejmujących także badanie VISION-DMD.

Po 24 tyg. leczenia WAM uzyskano klinicznie istotną poprawę funkcji motorycznych w testach: 6MWT, TTWR, TTCLIMB oraz NSAA względem wartości wyjściowych. W zakresie testu TTSTANDV uzyskano wynik  $<5$  sek., który według autorów badania może sugerować stabilność funkcjonalną. W porównaniu z leczeniem prednizonem [redacted]

[redacted] również w zakresie lęku i depresji dla dawki 6mg/kg mc. W grupach pacjentów przechodzących z leczenia placebo lub prednizonem (okres 1) na wamorolon (okres 2) odnotowano poprawę ocenianych funkcji motorycznych. U badanych, którzy w pierwszej części badania otrzymywali prednizon, zaobserwowano niewielkie pogorszenie wyniku 6MWT po przejściu na wamorolon. U pacjentów leczonych wamorolonem, poprawa we wszystkich

badanych parametrach funkcji kończyn dolnych obserwowana po 24 tyg. utrzymywała się w dużej mierze przez 48 tyg. leczenia.

W analizie MAIC nie wykazano istotnych statystycznie (IS) różnic w zakresie oceny funkcji motorycznych pomiędzy WAM a prednizonem lub deflazakortem.

Ilościową różnicą w profilu bezpieczeństwa, która wydaje się przemawiać na korzyść wamorolonu w porównaniu z prednizonem, był brak zahamowania wzrostu dla dawki 6 mg/kg mc. Po 24 tyg. leczenia wamorolonem odnotowano przyrost wzrostu pacjentów, gdy w ramieniu pacjentów stosujących prednizon doszło do opóźnienia wzrostu. W przyroście masy ciała nie było różnic. Ponadto dostępne dane sugerują, że wamorolon nie wpływa negatywnie na zdrowie kości lub przynajmniej w mniejszym stopniu niż prednizon. Odnotowano IS różnice na korzyść WAM vs PDN w zakresie zmiany stężenia markerów obrotu kostnego. IS większa była supresja funkcji nadnerczy (wzrost poziomu kortyzolu).

Nie odnotowano IS różnic pomiędzy obiema grupami pacjentów w zakresie wszystkich ocenianych zdarzeń niepożądanych. Częstość występowania istotnych klinicznie zaburzeń zachowania była istotnie niższa w ramieniu WAM vs. prednizon.

Brakuje danych dotyczących wpływu na dojrzewanie płciowe.

Analiza kliniczna ma szereg ograniczeń, m.in. protokół badania VISION-DMD nie obejmował analizy statystycznej dla porównania WAM vs PDN w zakresie oceny funkcji motorycznych oraz różnice w kryteriach włączenia/wykluczenia w porównaniu z proponowanym programem lekowym. W ramach badania VISION-DMD nie podano informacji, czy i u jakiego odsetka pacjentów rozpoznano niewydolność oddechową. Ocena powyższego punktu wydaje się szczególnie istotna w kontekście zapisów proponowanego programu lekowego, gdzie rozpoznanie niewydolności oddechowej wymagającej nieinwazyjnej wentylacji (NIV) >16 godzin na dobę stanowi kryterium wyłączenia z programu.

Wytyczne kliniczne

Odnalezione rekomendacje kliniczne Araujo 2023 (konsensus ekspertów brazylijskich), BTS 2024 (brytyjskie), DMD UK Standard 2025/DMD UK Standard 2025a (brytyjskie), FSPN 2024 (francuskie) oraz Malaga 2024 (Peru/międzynarodowe) zgodnie zalecają w leczeniu DMD stosowanie glikokortykosteroidów, głównie prednizonu/prednizolonu lub deflazakortu i jest to zgodne z postępowaniem farmakologicznym stosowanym w Polsce. Brytyjskie wytyczne DMD UK Standard 2025/2025a” wskazują wamorolon jako jedną z opcji terapeutycznych. Wytyczne Araujo 2023 wskazują ten lek jako obiecującą

terapię, aczkolwiek zaznaczają brak bezpośredniego porównania wamorolonu z innymi glikosteroidami.

#### Problem ekonomiczny

Według danych NFZ liczba pacjentów z rozpoznaniem głównym ICD-10: G71.0 (dystrofia mięśniowa) wyniosła w 2025 r. 3 147. Nie jest możliwe oszacowanie populacji docelowej ze względu na fakt, że to rozpoznanie obejmuje również inne dystrofie mięśniowe oprócz DMD.

Zaproponowano mechanizm dzielenia ryzyka polegający na

Wartości oszacowanych parametrów ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności. Przykładowo, przy zastosowaniu WAM w miejsce PDN, oszacowane wartości parametru ICUR w wariancie z RSS/bez RSS z perspektywy NFZ wyniosły odpowiednio / 281 343 PLN/QALY. Oszacowane wartości progowe cen zbytu netto leku są od wnioskowanej ceny zbytu netto z/bez RSS.

Zgodnie z wynikami probabilistycznej analizy wrażliwości prawdopodobieństwo, że wamorolon jest terapią kosztowo-efektywną (dla progu opłacalności równego 244 821 PLN/QALY) w porównaniu do prednizonu w wariancie z RSS i 0,0% w wariancie bez RSS z perspektywy NFZ. Prawdopodobieństwo, że wamorolon jest terapią kosztowo-efektywną wynosi w porównaniu do deflazakortu w wariancie z RSS i 0,0% w wariancie bez RSS z perspektywy NFZ. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy w wariancie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją terapii Agamree w ramach wnioskowanego programu lekowego nastąpi wydatków płatnika odpowiednio w I. i II. roku refundacji w wariancie z uwzględnieniem RSS oraz odpowiednio w I. roku i II. roku analizy w wariancie bez uwzględnienia RSS. Podobne wartości dotyczą wzrostu wydatków z perspektywy wspólnej.

#### Rekomendacje refundacyjne

Lek Agamree w leczeniu DMD jest dostępny w obrocie w 12 krajach UE i EFTA, a finansowany ze środków publicznych jest w dwóch krajach (Niemcy, Słowenia). Odnalezione rekomendacje refundacyjne (HAS 2024, NICE 2025, SMC 2025 oraz IQWiG/G-BA 2024.) były pozytywne pomimo uznania, że korzyści kliniczne ze stosowania wamorolonu są umiarkowane i lek nie zapewnia klinicznej wartości dodanej lub dane naukowe nie pozwalają na oszacowanie ilościowe.

*Przy ocenie zwrócono też uwagę na niepewność co do długoterminowego bezpieczeństwa wamorolonu.*

*Główne argumenty decyzji*

- *Słaba jakość naukowych dowodów na lepsze efekty terapeutyczne w porównaniu z terapią kortykosteroidami.*
- *Dowody nie odzwierciedlają wystarczająco populacji planowanej do włączenia w PL.*
- *Ograniczone dane dotyczące długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa wamorolonu.*
- *Wysokie koszty dla płatnika.*
- *Refundacja tylko w 2 krajach europejskich.*

**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.423.2.5.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Agamree (wamorolon) w ramach nowego programu lekowego: »Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a (DMD) (ICD-10: G71.0)«”; data ukończenia: 13 lutego 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Genesis Biopharma 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:** (Genesis Biopharma Poland sp. z o.o.).



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 26/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku  
w sprawie oceny leku Poltixa (apixabanum) we wskazaniu:  
zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u dorosłych  
pacjentów z niezastawkowym migotaniem przedsionków  
z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:*

- *Poltixa (apixabanum), tabl. powł., 5 mg, 60 tabl., GTIN: 05909991457198,*
- *Poltixa (apixabanum), tabl. powł., 2,5 mg, 60 tabl., GTIN: 05909991457136,*

*we wskazaniu: zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u dorosłych pacjentów z niezastawkowym migotaniem przedsionków z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka, takim jak:*

- *przebyty udar mózgu lub przemijający napad niedokrwienności (ang. transient ischaemic attack, TIA);*
- *wiek  $\geq 75$  lat;*
- *nadciśnienie tętnicze;*
- *cukrzyca;*
- *objawowa niewydolność serca (klasa wg NYHA  $\geq II$ ),*

*jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich za odpłatnością 30%, pod warunkiem co najmniej zrównania ceny do cen już refundowanych leków z tej grupy.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Poltixa jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Wnioskodawca nie zaproponował mechanizmu dzielenia ryzyka.*

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

Migotanie przedsionków (ICD-10: I48, ang. atrial fibrillation, AF) to najczęstsza tachyarytmia nadkomorowa, którą cechuje szybka, nieskoordynowana aktywacja przedsionków, prowadząca do utraty efektywności hemodynamicznej ich skurczu, czemu towarzyszy niemierny rytm komór. Przyczyny AF mogą być sercowe (m.in. nadciśnienie tętnicze, wady zastawkowe nabyte i wrodzone, choroba niedokrwienna serca, kardiomiopatie, przebyte operacje) oraz pozasercowe. Najpoważniejszym powikłaniem AF są powikłania zakrzepowozatorowe, przede wszystkim udar niedokrwienny mózgu. Są one związane z powstaniem skrzepliny w lewym przedsionku (najczęściej w jego uszku).

W ramach profilaktyki długoterminowej u chorych z AF ocenia się zagrożenie powikłaniami zakrzepowozatorowymi na podstawie skali CHA<sub>2</sub>DS<sub>2</sub>-VA oraz ryzyko krwawienia na podstawie skali HAS-BLED. Skala CHA<sub>2</sub>DS<sub>2</sub>-VA służy do oceny ryzyka udaru niedokrwiennego mózgu u chorych z migotaniem przedsionków niezwiązanym z wadą zastawkową i obejmuje następujące czynniki ryzyka: przewlekła niewydolność serca, nadciśnienie tętnicze, wiek  $\geq 75$  lat, cukrzyca, przebyty udar mózgu lub TIA lub inny incydent zakrzepowozatorowy, choroba naczyniowa oraz wiek 65-74 lata. Niezastawkowe migotanie przedsionków (NVAF) jest definicją kliniczną kluczową dla wyboru strategii leczenia przeciwzakrzepowego, mającej na celu uniknięcie udaru mózgu i powikłań zakrzepowozatorowych. Ta kategoria obejmuje wszystkich pacjentów z migotaniem przedsionków (AF) z wyłączeniem tych, u których występuje mechaniczna zastawka serca lub umiarkowane do ciężkiego zwężenie zastawki mitralnej. Wynik w skali CHA<sub>2</sub>DS<sub>2</sub>-VA determinuje decyzję o rozpoczęciu leczenia przeciwzakrzepowego, którego kluczową strategią jest przewlekłe stosowanie antykoagulantu doustnego (ang. oral anticoagulants, OAC) z preferencją wyboru DOAC.

Komparatorami dla Poltixa są produkty lecznicze, zawierające dabigatran i rywaroksaban – substancje, które podobnie jak apiksaban należą do grupy bezpośrednich doustnych antykoagulantów (ang. direct oral anticoagulants, DOAC/non-vitamin K antagonist oral anticoagulants, NOAC). Substancje te są aktualnie refundowane we wskazaniu: profilaktyka udarów i zatorowości obwodowej u dorosłych pacjentów z migotaniem przedsionków niezwiązanym z wadą zastawkową, z jednym lub kilkoma czynnikami ryzyka, takimi jak wcześniejszy udar lub przemijający napad niedokrwienny, wiek  $\geq 75$  lat, nadciśnienie tętnicze, cukrzyca, niewydolność serca (klasa  $\geq II$  wg NYHA), które odpowiada wskazaniu wnioskowanemu.

AOTMiT dotąd nie oceniała leku Poltixa. Oceniała 05.08.2013 r. Apiksaban Accord oraz Eliquis – zbliżone wskazanie – stanowisko RP nr 154/213 z dnia 05.08.2013 r. – zasadne pod warunkiem obniżenia kosztów.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono 21 badań RCT i/lub RWE, 18 RWE, w tym 6 tylko dla apiksabanu vs rywaroksaban. Brak jest badań z porównaniem bezpośrednim, wyniki przedstawiono na podstawie opracowań wtórnych z porównaniami pośrednimi. Brak jest własnych analiz.

Badano skuteczność kliniczną i praktyczną. Wyniki badań dotyczące udaru, udaru lub zatorowości systemowej nie wykazały różnic między apiksabanem a rywaroksabanem lub dabigatranem. W zatorowości systemowej Zhang 2021 wykazał częstsze jej występowanie u chorych stosujących apiksaban w porównaniu z rywaroksabanem (HR 3,78 [95% CI: 1,16; 12,31]). W pracy Mitchell 2013 nie wykazano jednak żadnej różnicy. Fu 2014 wykazał mniejsze ryzyko zawału serca w porównaniu z dabigatranem w dawce 150 mg (OR=0,64; 0,39-0,94). Jednak dla dawki 110 mg różnica nie była istotna, podobnie w metaanalizach Lopez-Lopez 2017 i Mitchell 2013. W badaniach skuteczności praktycznej – opracowaniach wtórnych badań RWE część badań wykazała przewagę apiksabanu, inne analizy nie wykazały żadnych różnic w częstości występowania udaru, udaru lub zatorowości systemowej, zatorowości systemowej. Podobnie było w badaniach pierwotnych skuteczności praktycznej, gdzie większość badań przemawiała na korzyść apiksabanu, reszta nie wykazywała istotności statystycznej. W badaniu złożonego punktu końcowego Durand 2020 w populacji ogólnej NVAF (udar, SE, poważne krwawienie, zgon z dowolnej przyczyny) stwierdził istotne statystycznie zmniejszenie ryzyka (HR 0,82; 0,76-0,88). Podobne wyniki uzyskał Lopes 2021. Pozostałe analizy nie wykazały różnic.

W analizie bezpieczeństwa opracowania w większości przypadków wykazywały przewagę apiksabanu, w pozostałych badaniach wyniki się nie różniły.

Podsumowując lek jest równie skuteczny jak inne leki z tej grupy.

#### Wytyczne kliniczne

U chorych z NVAF ze wskazaniami do leczenia przeciwzakrzepowego wytyczne zalecają stosowanie DOAC zamiast warfaryny w celu zapobiegania powikłaniom zakrzepowo-zatorowym. Ryzyko należy ocenić w odpowiedniej skali, np. CHA<sub>2</sub>DS<sub>2</sub>-VA – ESC/PTK 2024, ACC/AHA/ACCP/HRS 2023, CCS/CHRS 2020, ESO 2019, NICE 2021.

#### Problem ekonomiczny

Analizę wnioskodawca przeprowadził w formie analizy minimalizacji kosztów w horyzoncie rocznym, w której jako komparatory przyjęto rywaroksaban i dabigatran. Wnioskodawca nie przedstawił RCT, w którym wykazano by wyższość apiksabanu, zachodzą więc okoliczności art. 13 ust. 3 Ustawy o Refundacji. Nie zaproponował też instrumentów dzielenia ryzyka.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie apiksabanu w miejsce dabigatranu jest droższe z perspektywy NFZ o ████████ PLN, z perspektywy

wspólnej o [redacted] PLN. Stosowanie apiksabanu w miejsce rywaroksabanu jest droższe z perspektywy NFZ o [redacted] PLN, z perspektywy wspólnej o [redacted] PLN. Oszacowane ceny zbytu netto zrównujące koszt stosowania apiksabanu w miejsce technologii o najkorzystniejszym współczynniku kosztów do efektów zdrowotnych wynoszą z perspektywy NFZ [redacted] PLN/opak. 2,5 mg x 60 tabl. powl. i [redacted] PLN/opak. 5 mg x 60 tabl. powl. Z perspektywy wspólnej [redacted] PLN/opak. 2,5 mg x 60 tabl. powl. i [redacted] PLN/opak. 5 mg x 60 tabl. powl. i są [redacted] niż ceny wnioskowane (odpowiednio [redacted] PLN/opak. 2,5 mg x 60 tabl. powl. oraz [redacted] PLN/opak. 5 mg x 60 tabl. powl.).

Rada nie znajduje uzasadnienia dla wyższej ceny wnioskowanego leku.

Stwierdzone ograniczenia metodyki analizy, w szczególności przyjęcie techniki minimalizacji kosztów w sytuacji występowania systematycznych, istotnych statystycznie różnic w skuteczności i bezpieczeństwie między technologią wnioskowaną a przyjętymi komparatorami w ramach analizy klinicznej, ogranicza możliwość wnioskowania o efektywności kosztowej ocenianej technologii w horyzoncie dożywnym.

Analizę wpływu na budżet płatnika publicznego przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym, z perspektywy NFZ oraz z perspektywy wspólnej. Przedstawiono także wyniki z perspektywy świadczeniobiorców.

Liczebność populacji ze wskazaniem określonym we wniosku oszacowano na 292 856 pacjentów, natomiast liczebność całej populacji uwzględnionej w analizie (wszystkie 3 leki), oszacowano na [redacted] pacjentów w I roku oraz [redacted] pacjentów w II roku analizy.

Zgodnie z wynikami analizy wnioskodawcy sumaryczne koszty inkrementalne wyniosą:

- z perspektywy NFZ [redacted] PLN w I roku i [redacted] PLN w II roku refundacji,
- z perspektywy świadczeniobiorców: [redacted] PLN w I roku i [redacted] PLN w II roku refundacji,
- z perspektywy wspólnej: [redacted] PLN w I roku i [redacted] PLN w II roku refundacji.

Wydatki NFZ na finansowanie leku Poltixa we wnioskowanym wskazaniu (tylko koszt leku) wyniosą [redacted] w I roku i [redacted] w II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej.

Najistotniejszym ograniczeniem analizy wpływu na budżet wnioskodawcy jest niepewność dotycząca potencjalnego niedoszacowania przedstawionych wyników, związana ze stwierdzonymi ograniczeniami w zakresie oszacowań liczebności populacji docelowej oraz prognoz przejmowania udziałów w rynku.

#### Główne argumenty decyzji

- Równe bezpieczeństwo i skuteczność jak refundowanych leków z tej grupy.

- *Brak uzasadnienia dla wyższego kosztu terapii.*

#### **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.423.4.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Poltixa (apiksaban) we wskazaniu: zapobieganie udarom mózgu i zatorowości systemowej u dorosłych pacjentów z niezastawkowym migotaniem przedsionków (ang. Non-Valvular Atrial Fibrillation, NVAf) z co najmniej jednym czynnikiem ryzyka, takim jak przebyty udar mózgu lub przemijający napad niedokrwienny (ang. transient ischaemic attack, TIA); wiek  $\geq 75$  lat; nadciśnienie tętnicze; cukrzyca; objawowa niewydolność serca (klasa wg NYHA  $\geq II$ )”; data ukończenia: 13.02.2026

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.) 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:** (Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.).



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 21/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku  
w sprawie wprowadzenia kompleksowych zmian w treści programu  
lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (ICD-10  
I27, I27.0)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie kompleksowych zmian w treści programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (ICD-10 I27, I27.0)”.*

Problem decyzyjny

*Na zlecenie Ministra Zdrowia oceniane są następujące zmiany w ramach programu B.31:*

- *w części dotyczącej osób dorosłych  $\geq 18$  r.ż.:*
  - *stosowanie od początku leczenia terapii dwulekowej: ERA (Bosentan) + inhibitory PDE5 (Sildenafil);*
  - *poszerzenia zakresu wskazań dla substancji czynnych riociguat i macyntan w terapii skojarzonej;*
  - *uwzględnianie profilu ryzyka chorego z TNP przy podejmowaniu decyzji o terapii początkowej lub jej eskalacji;*
- *w części dotyczącej dzieci (< 18 lat):*
  - *stosowanie od początku leczenia terapii dwulekowej: ERA + inhibitory PDE5;*
  - *uwzględnianie profilu ryzyka chorego z TNP jako kryterium włączenia do terapii początkowej (monoterapii bosentanem i sildenafilem lub terapii dwulekowej prowadzonej za ich pomocą).*

*Ponadto wskazane jest rozważenie dwóch scenariuszy, tj. wprowadzenia w życie wszystkich zmian przewidzianych w załączonym projekcie programu lekowego oraz bez zmian dotyczących poszerzenia zakresu wskazań dla substancji czynnych riociguat i macytentan.*

#### **Uzasadnienie**

*Proponowane zmiany dostosowują program do aktualnych wytycznych klinicznych.*

*Terapia dwulekowa od początku leczenia TNP: ERA+ inhibitor PDE5 skuteczność wykazana w badaniach o dobrej jakości zarówno u dzieci, jak i u dorosłych. Wprowadzenie od początku terapii dwulekowej z zastosowaniem ERA i inhibitora PDE5 to opóźnienie, wskutek złagodzenie przebiegu choroby, konieczności włączenia u pacjentów z TNP paranteralnych prostanoidów lub seleksypagu. Są to leki, które generują największe koszty w terapii TNP. Obok wydłużenia przeżycia chorych i opóźnienia konieczności zastosowania prostanoidów czy sotaterceptu przyczyni się to może także to rzadszego lub późniejszego kwalifikowania chorych do transplantacji płuc.*

*Uwzględnianie profilu ryzyka chorego z TNP w obydwu grupach, jako kryterium włączenia do terapii początkowej (monoterapii bosentanem i sildenafilem lub terapii dwulekowej prowadzonej za ich pomocą, znajduje uzasadnienie zarówno w badaniach klinicznych jak i wytycznych).*

*Wydatki płatnika publicznego w wyniku wprowadzenia jedynie terapii dwulekowej wzrosną o 278 000 zł, natomiast jeżeli zostaną rozszerzone zakresy refundowanych w ramach programu wskazań, dla substancji macytentan i riociguat, wydatki płatnika wzrosną o 56,3 mln.*

*W przypadku uwzględnienia zaproponowanych zmian w treści PL B.31 dla populacji pediatrycznej wydatki płatnika publicznego wzrosną o 422 000 zł rocznie.*

#### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.422.3.6.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zmian w treści programu lekowego B.31: „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (ICD-10 I27, I27.0)”; data ukończenia: 18 lutego 2026 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 27/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa  
Basic-P w wielu wskazaniach**

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P we wskazaniach:*

- *acyduria metylomalonowa,*
- *acyduria izowalerianowa,*
- *acyduria propionowa,*
- *acyduria glutarowa,*
- *cytrulinemia,*
- *deficyt CPS1,*
- *hiperamonemia typu II (deficyt OTC),*
- *choroba syropu klonowego,*
- *argininobursztynuria,*
- *homocystynuria.*

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P we wskazaniu deficyt beta-ketotiolazy.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, cytrulinemia, deficyt CPS1, hiperamonemia typu II (deficyt OTC), choroba syropu*

klonowego, było przedmiotem oceny Rady Przejrzystości i Prezesa Agencji w 2022 r.

Rada Przejrzystości wydała pozytywne stanowisko nr 82/2022 z dnia 22 sierpnia 2022 roku, a Prezes Agencji pozytywną rekomendację nr 85/2022 z dnia 22 sierpnia 2022 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P w ww. wskazaniach.

Zgodnie z aktualnym zleceniem Ministra Zdrowia oceną ma zostać objęte również wydawanie zgód na refundację Milupa Basic-P dla wskazań: argininobursztynuria, homocystynuria oraz deficyt beta-ketotiolazy.

Wszystkie wymienione choroby są chorobami rzadkimi. Choroby te charakteryzują się genetycznie uwarunkowanymi wadami metabolizmu, w leczeniu których odnaleziono wytyczne w większości zalecają stosowanie diety niskobiałkowej w połączeniu z indywidualnym postępowaniem zależnym od rozpoznanej choroby oraz stanu zdrowia pacjentów.

#### Dowody naukowe

Odnaleziono jedno retrospektywne badanie obserwacyjne Pretese 2024, którego celem było opisanie leczenia dietetycznego pacjentów z chorobą syropu klonowego (MSUD). Analiza DEXA wykazała, że średnio półsyntetyczna dieta stosowana przez pacjentów z MSUD nie wpływa negatywnie na ich skład ciała pod względem masy tłuszczowej i beztłuszczowej. Jeśli chodzi o gęstość mineralną kości, wyniki jednak wykazały silną tendencję do rozwoju osteopenii, zaczynającą się już w młodym wieku. Autorzy badania wskazali na potrzebę dalszych badań nad potencjalnymi czynnikami ryzyka, w szczególności nad tym, czy przewlekłe spożywanie mieszanek aminokwasowych zaburza fizjologiczny proces mineralizacji oraz czy zasadne jest zastosowanie leków, które nie zmieniają pH substytutów białkowych. Do badania zostało włączonych 5 pacjentów pediatrycznych, z czego 1 z pośrednią postacią choroby. Okres obserwacji wyniósł niespełna rok.

Ponadto odnaleziono 7 nieuwzględnionych przy uprzednim stanowisku Rady dokumentów zawierających wytyczne dotyczące: acydurii glutarowej, zaburzeń cyklu mocznikowego, kwasic organicznych, zaburzeń metabolizmu aminokwasów, zaburzeń ketolizy, acydurii izowalerianowej, choroby syropu klonowego, hiperamonemii oraz homocystynurii (Boy 2023, BIMDG 2020, Burlina 2024, Thimm 2025, Rostampour 2025, Belanger-Quintana 2022, Morris 2017).

W wytycznych, pomimo odrębności dotyczących leczenia konkretnych wskazań, wskazywano, iż kluczowe jest ograniczenie spożycia białka naturalnego przez pacjentów. W wytycznych opisano, iż zasadne jest stosowanie diet o obniżonej zawartości białka, a także stosowanie produktów niezawierających białka.

*Jednocześnie wskazano na potrzebę dostarczania odpowiedniej podaży kalorii w celu minimalizacji katabolizmu.*

*Odnalezione wytyczne są spójne z wcześniejszymi wytycznymi, w których również wskazywano, iż ograniczenie białka przyjmowanego przez pacjentów stanowi podstawę terapii.*

*Jedynie odnalezione wytyczne dotyczące deficytu beto-ketotiolazy (BIMDG 2020) wskazują na jedynie teoretyczną zasadność umiarkowanego ograniczenia spożycia białka w celu zmniejszenia ładunku izoleucyny, z zastrzeżeniem, że obecnie takie postępowanie nie ma poparcia w dowodach i korzyści nie są udowodnione.*

*Nie odnaleziono nowych wytycznych ani badań bezpośrednio odnoszących się do cytrulinemii, deficytu CPS1 oraz deficytu OTC przy czym względem tych wskazań należy przytoczyć wytyczne europejskie Häberle 2019 dot. zaburzeń cyklu mocznikowego, które zalecają przestrzeganie diety niskobiałkowej. Nie odnaleziono wytycznych ani badań odnoszących się bezpośrednio do argininobursztynurii przy czym choroba ta również należy do grupy zaburzeń cyklu mocznikowego.*

#### Problem ekonomiczny

*Cena środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P, za 1 puszkę 400 mg, wynosi 438,17 zł (dane z 1 sierpnia 2025.).*

*Szacunkowy roczny koszt refundacji produktu w opiniowanych wskazaniach łącznie wyniesie 311 977,04 zł na 34 pacjentów (zaś bez uwzględnienia deficytu beto-ketotiolazy: 289 629,37 zł na 32 pacjentów).*

*Obserwuje się wzrost ceny hurtowej za 1 opakowanie Milupa Basic-P 400 g o ok. 161 % (w ramach poprzedniego zlecenia MZ wskazano cenę hurtową w wysokości 168,00 zł).*

#### Główne argumenty decyzji

- wskazania dot. chorób rzadkich, w leczeniu których zaleca się stosowanie diety niskobiałkowej;*
- brak jest alternatywnych technologii medycznych względem diety niskobiałkowej;*
- brak poparcia w dowodach i korzyściach dla stosowania diety niskobiałkowej (preparatu) we wskazaniu: deficyt beto-ketotiolazy;*
- refundacja preparatu nie powinna stanowić nadmiernego obciążenia dla płatnika publicznego.*

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 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: OTAP.4211.1.2025 (Aneks do opracowania: Nr: OT.4211.9.2022) „Milupa Basic-P we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, cytrulinemia, deficyt CPS1, hiperamonemia typu II (deficyt OTC), choroba syropu klonowego, argininobursztynuria, deficyt beta-ketotiolazy oraz homocystynuria”; data ukończenia: 18 lutego 2026 r.



**Opinia Rady Przejrzystości**  
**nr 22/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku**  
**w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną**  
**sunitinibum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub**  
**sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce**  
**Produktu Leczniczego**

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: (załącznik C.88.b.) u dorosłych pacjentów z histologicznie potwierdzonym:*

- *zaawansowanym lub przerzutowym nieoperacyjnym mięsakiem pęcherzykowym (alveolar soft part sarcoma),*
- *samotnym guzem włóknistym (solitary fibrous tumor),*
- *a także u wcześniej poddanych chemioterapii pacjentów z mięsakiem naczyniowym (angiosarcoma) w stadium miejscowego zaawansowania lub uogólnienia – przy braku możliwości radykalnego leczenia chirurgicznego.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Zgodnie z opinią Rady Przejrzystości nr 45/2023 z dnia 27 marca 2023 roku uznano wówczas za zasadne kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sunitynib, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. w leczeniu mięsaków tkanek miękkich. Jako uzasadnienie decyzji powoływano się na wcześniejsze opinie Rady Przejrzystości (2019 oraz 2022 rok) oraz pozytywne wytyczne kliniczne dotyczące zastosowania sunitynibu w omawianych wskazaniach klinicznych (ESMO 2021, PTOK 2017 oraz ESMO-EURACAN 2018).*

**Dowody naukowe**

*Wg aktualnych wytycznych klinicznych (UK 2024, NCCN 2026, GEIS 2025) zastosowanie leków hamujących angiogenezę w tym sunitynibu*

*ma zastosowanie w leczeniu mięsaka pęcherzykowego, samotnego guza włóknistego oraz mięsaka naczyniowego.*

*Nowe dane naukowe nie dają podstawy do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości w zakresie refundacji sunitynibu w ocenianych wskazaniach.*

*Główne argumenty decyzji*

- *Pozytywne wytyczne kliniczne dotyczące zastosowania sunitynibu w omawianych wskazaniach.*
- *Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.*

**Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).



**Opinia Rady Przejrzystości**  
**nr 23/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku**  
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną  
everolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,  
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce  
Produktu Leczniczego

*Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną everolimus w wskazaniach pozarejestacyjnych: (załącznik C.91.a.)*

- *nowotwór w stadium zaawansowanym,*
- *udokumentowane niepowodzenie wcześniejszego leczenia z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych (jedna albo dwie linie) lub udokumentowane niepowodzenie wcześniejszego leczenia z zastosowaniem immunoterapii albo immunoterapii i inhibitorów kinaz tyrozynowych.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Kolejno w roku 2021 oraz w 2023 Rada Przejrzystości uznała za zasadną refundację leków zawierających substancję ewerolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj: III linia leczenia raka nerkowokomórkowego, w ramach Programu Lekowego B.10 „Leczenie raka nerki (ICD-10 C64). Obecna opinia zawiera zmienione wskazania, jednakże nadal są one nadal poza tymi które everolimus uzyskał w procesie dopuszczenia do obrotu. Te wskazania, odnoszą się do nowych wytycznych i rekomendacji a także obecnej praktyki klinicznej.*

*Dowody naukowe*

*Najważniejsze wytyczne kliniczne dotyczące leczenia raka nerki obejmują: European Society for Medical Oncology (ESMO) w swoich wytycznych dla RCC klasycznie wymienia everolimus jako opcję po niepowodzeniu inhibitorów VEGF.*

European Association of Urology (EAU) rekomenduje mTOR-inhibitory (w tym temsirolimus a następnie everolimus) jako opcje terapii drugiej i kolejnych linii przy zaawansowanej chorobie, szczególnie gdy terapia VEGF zawiodła.

National Comprehensive Cancer Network (NCCN) uwzględnia everolimus jako ważną opcję w drugiej linii leczenia mRCC po terapii przeciwnaczyiniowej.

Zgodnie z najnowszą praktyką kliniczną Everolimus bywa stosowany, gdy:

- wyczerpano opcje immunoterapii i TKI,
- istnieją przeciwwskazania do dalszej immunoterapii,
- toksyczność innych leków uniemożliwia ich użycie.

Najważniejsze badanie porównujące belzutifan z everolimusem to LITESPARK-005 — faza III (randomizowane, otwarte). Celem było porównanie skuteczności i bezpieczeństwa belzutifanu vs everolimus u pacjentów z zaawansowanym jasnokomórkowym RCC po wcześniejszym leczeniu co najmniej:

\* inhibitorem PD-1/PD-L1

\* inhibitorem VEGF-TKI

(populacja typowa dla III linii lub późniejszych).

Wyniki kliniczne:

Postęp choroby (PFS):

— choć mediana PFS była taka sama dla obu ramion (5,6 mies.) przy standardowym porównaniu, to analizy czasowego rozkładu progresji wykazały wyraźne korzyści z belzutifanu, m.in. wyższe wskaźniki przeżycia wolnego od progresji w późniejszych miesiącach i bardziej korzystne profile czasu bez progresji.

Odsetek odpowiedzi obiektywnych (ORR):

— znacznie wyższy w ramieniu belzutifanu (~22 %) vs everolimus (~3,5 %).

Przeżycie całkowite (OS):

— trend na korzyść belzutifanu, ale różnica nie była statystycznie istotna w analizie przeżycia całkowitego przy medianach ~21,4 vs ~18,1 mies. (HR ≈ 0,88).

Bezpieczeństwo:

— profil zdarzeń niepożądanych był podobny ogólnie, ale mniej pacjentów przerwało leczenie z powodu toksyczności w ramieniu belzutifanu niż everolimusu.

Analiza jakości życia:

belzutifan wiązał się z utrzymaniem lub poprawą jakości życia i objawów choroby względem everolimusu w analizach PRO (patient-reported outcomes).

### Główne argumenty decyzji

- *Brak danych wskazujących na nieefektywność przedmiotowej technologii;*
- *Dobrze poznany profil bezpieczeństwa;*
- *Rekomendacje kliniczne wskazujące na zasadność stosowania w drugiej i kolejnych liniach leczenia także w przypadkach, gdy zastosowanie immunoterapii albo immunoterapii i inhibitorów kinaz tyrozynowych jest niemożliwe.*

### **Tryb wydania opinii**

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).