



DOR.001.4.2026.AG

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 9/2026
w dniu 2 marca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Artur Bachta
2. Robert Bryzek
3. Andrzej Dąbrowski
4. Katarzyna Galas
5. Maciej Karaszewski
6. Elżbieta Lanc
7. Ewa Obuchowicz
8. Tomasz Pasierski
9. Zbigniew Siudak
10. Aleksandra Zasada

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 Beyontra (acoramidisum) w ramach programu lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Darzalex (daratumumabum) w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozy (ICD-10: C90.0)”.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”.
5. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.88.a., populacja pediatryczna

- C15.0 szyjna część przełyku; • C15.1 piersiowa część przełyku; • C15.2 brzuszna część przełyku; • C15.3 górna trzecia część przełyku; • C15.4 środkowa trzecia część przełyku; • C15.5 dolna trzecia część przełyku; • C15.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku; • C15.9 przełyk, umiejscowienie nieokreślone; • C16.0 wpust; • C16.1 dno żołądka; • C16.2 trzon żołądka; • C16.3 ujście odźwiernika; • C16.4 odźwiernik; • C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, umiejscowienie nieokreślone; • C16.6 krzywizna większa żołądka, umiejscowienie nieokreślone; • C16.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie żołądka; • C16.9 żołądek, umiejscowienie nieokreślone; • C17.0 dwunastnica; • C17.1 jelito czcze; • C17.2 jelito kręte; • C17.3 Uchyłek Meckela; • C17.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita cienkiego; • C17.9 jelito cienkie, umiejscowienie nieokreślone; • C18.0 jelito ślepe; • C18.1 wyrostek robaczkowy; • C18.2 okrężnica wstępująca; • C18.3 zgięcie wątrobowe; • C18.4 okrężnica poprzeczna; • C18.5 zgięcie śledzionowe; • C18.6 okrężnica zstępująca; • C18.7 esica; • C18.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita grubego; • C18.9 okrężnica, umiejscowienie nieokreślone; • C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczo odbytniczego; • C20 nowotwór złośliwy odbytnicy; • C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa; • C48.1 określona część otrzewnej; • C48.2 otrzewna, umiejscowienie nieokreślone; • C48.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.
6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej imatinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.70.d., populacja pediatryczna
- C15.0 szyjna część przełyku; • C15.1 piersiowa część przełyku; • C15.2 brzuszna część przełyku; • C15.3 górna trzecia część przełyku; • C15.4 środkowa trzecia część przełyku; • C15.5 dolna trzecia część przełyku; • C15.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku; • C15.9 przełyk, umiejscowienie nieokreślone; • C16.0 wpust; • C16.1 dno żołądka; • C16.2 trzon żołądka; • C16.3 ujście odźwiernika; • C16.4 odźwiernik; • C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, umiejscowienie nieokreślone; • C16.6 krzywizna większa żołądka, umiejscowienie nieokreślone; • C16.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie żołądka; • C16.9 żołądek, umiejscowienie nieokreślone; • C17.0 dwunastnica; • C17.1 jelito czcze; • C17.2 jelito kręte; • C17.3 uchyłek Meckela; • C17.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita cienkiego; • C17.9 jelito cienkie, umiejscowienie nieokreślone; • C18.0 jelito ślepe; • C18.1 wyrostek robaczkowy; • C18.2 okrężnica wstępująca; • C18.3 zgięcie wątrobowe; • C18.4 okrężnica poprzeczna; • C18.5 zgięcie śledzionowe; • C18.6 okrężnica zstępująca; • C18.7 esica; • C18.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita grubego; • C18.9 okrężnica, umiejscowienie nieokreślone; • C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczo odbytniczego; • C20 nowotwór złośliwy odbytnicy; • C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa; • C48.1 określona część otrzewnej; • C48.2 otrzewna, umiejscowienie nieokreślone; • C48.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.
7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej sorafenibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: (załącznik C.89.a.) u dorosłych pacjentów z histologicznie

potwierdzonym zaawansowanym/przerzutowym nowotworem podścieliska przewodu pokarmowego (GIST), z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia imatynibem oraz sunitynibem

- C15.0 szyjna część przełyku; • C15.1 piersiowa część przełyku; C15.2 brzuszna część przełyku; • C15.3 górna trzecia część przełyku; • C15.4 środkowa trzecia część przełyku; • C15.5 dolna trzecia część przełyku; • C15.8 zmiana przekraczająca granice przełyku; • C15.9 przełyk, nieokreślony; • C16.0 wpust; • C16.1 dno żołądka; • C16.2 trzon żołądka; • C16.3 ujście odźwiernika; • C16.4 odźwiernik; • C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, nieokreślona; • C16.6 krzywizna większa żołądka, nieokreślona; • C16.8 zmiana przekraczająca granice żołądka; • C16.9 żołądek, nieokreślony; • C17.0 dwunastnica; • C17.1 jelito czcze; • C17.2 jelito kręte; • C17.3 uchyłek Meckela; • C17.8 zmiana przekraczająca granice jelita cienkiego; • C17.9 jelito cienkie, nieokreślone; • C18.0 jelito ślepe; • C18.1 wyrostek robaczkowy; • C18.2 okrężnica wstępująca; • C18.3 zgięcie wątrobowe; • C18.4 okrężnica poprzeczna; • C18.5 zgięcie śledzionowe; • C18.6 okrężnica zstępująca; • C18.7 esica; • C18.8 zmiana przekraczająca granice okrężnicy; • C18.9 okrężnica, nieokreślona; • C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczo-odbytniczego; • C20 nowotwór złośliwy odbytnicy; • C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa; • C48.1 określona część otrzewnej; • C48.2 otrzewna, nieokreślona; • C48.8 zmiana przekraczająca granice przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.

8. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej brentuximabum vedotinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- B.77: różnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów we wskazaniu: nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak Hodgkina (HL) w populacji pediatrycznej;
- B.66: różnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów we wskazaniu: nawrotowy lub oporny na leczenie układu chłoniak anaplastyczny z dużych komórek CD30+ (sALCL) w populacji pediatrycznej.

9. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada 9 głosami „za” (Elżbieta Lanc nie brała udziału w głosowaniu ze względu na chwilową nieobecność) zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Beyontra.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Zbigniew Siudak i Tomasz Pasierski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski, Zbigniew Siudak, Katarzyna Galas i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował dane dot. leku Darzalex.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta z dziedziny medycyny, który również odpowiadał na pytania Rady.

W dyskusji Rady udział wzięli: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz i Aleksandra Zasada.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Ewa Obuchowicz.

Treść uchwały doprecyzowali Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje o programie z zakresu diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD (gm. Konstancin-Jeziorna).

Projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc, a treść uchwały doprecyzował Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Katarzyna Galas przedstawiła projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej sunifinibum.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej imatinibum.

W dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Maciej Karaszewski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Aleksandra Zasada przedstawiła projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej sorafenibum.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Katarzyna Galas przedstawiła projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej brentuximabum vedotinum.

W dyskusji Rady uczestniczyli Tomasz Pasierski i Katarzyna Galas

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:55.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 28/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Beyontra (acoramidisum) w ramach programu
lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią
(ICD-10: E85, I42.1)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Beyontra (acoramidisum), tabletki powlekane, 356 mg, 120 sztuk, GTIN 04057598029926, we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej w I-II klasie NYHA, w ramach programu lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”, 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

Amyloidoza transtyretynowa serca (ATTR-CM) to infiltracyjna postać kardiomiopatii wywołana odkładaniem się w mięśniu sercowym nierozpuszczalnych włókien amyloidowych powstających z nieprawidłowo zmienionej transtyretyny (TTR). ATTR-CM jest chorobą rzadką, w Polsce rozpoznawaną z istotnym opóźnieniem z powodu nieswoistych objawów oraz ograniczonej świadomości diagnostycznej. W populacji polskiej choroba jest niedoszacowana; dotyczy najczęściej mężczyzn po 60.-70. r.ż., ale występuje również postać dziedziczna.

Nieleczona ATTR-CM cechuje się niekorzystnym rokowaniem, a mediana przeżycia w objawowej fazie niewydolności serca wynosi 2-3,5 roku. Wczesne rozpoznanie i wdrożenie leczenia (szczególnie NYHA I–II) pozwala spowolnić progresję choroby, poprawić jakość życia i zmniejszyć ryzyko zgonu. Nowe terapie dodatkowo zwiększają potencjał długoterminowej stabilizacji choroby.

Aktualnie podstawą terapii przyczynowej jest tafamidis (stabilizator tetrameru TTR), który redukuje śmiertelność i hospitalizacje kardiologiczne, szczególnie jeśli leczenie rozpocznie się we wczesnych klasach NYHA. Dostępne są także nowe terapie: akoramidis oraz wutrisyran (RNAi), z potwierdzoną skutecznością w badaniach klinicznych. Leczenie objawowe obejmuje głównie diuretyki pętłowe i optymalizację stylu życia.

Akoramidis jest specyficznym stabilizatorem TTR, chroniący przed chorobą wariant genetyczny (T119M) poprzez tworzenie wiązań wodorowych z sąsiadującymi resztami seryny w obu miejscach wiązania tyroksyny w tetramerze.

Dowody naukowe

Kluczowe wyniki analizy skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa akoramidisu względem aktualnego komparatora, tj. tafamidisu w ramach leczenia dorosłych chorych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) zostały przygotowane w oparciu o porównanie pośrednie metodą Buchera na podstawie RCT ATTRibute-CM (dla akoramidisu vs placebo) i RCT ATTR-ACT (dla tafamidisu [wyniki dla połączonych dawek] vs placebo).

W hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgon z dowolnej przyczyny oraz hospitalizację z przyczyn sercowo-naczyniowych, analiza metodą Buchera wykazała wynik nieistotny statystycznie (WR=0,88; 95%CI: 0,58; 1,33; p=0,5527), co wskazuje na brak przewagi którejkolwiek terapii. Również osobne porównania dla zgonów (OR=1,23; 95%CI: 0,70; 2,18; p=0,4734) oraz dla hospitalizacji sercowo-naczyniowych (OR=0,68; 95%CI: 0,40; 1,15; p=0,1508) nie wykazały istotnych różnic. W zakresie funkcjonalności, w pośrednim porównaniu wynik testu 6-minutowego marszu (6-MWT) był na korzyść dla tafamidisu, wskazując na lepszą tolerancję wysiłku (LSMD=-36,08; 95%CI: -62,00; -10,16; p=0,0064). Natomiast jakość życia mierzona kwestionariuszem KCCQ-OS nie różniła się istotnie pomiędzy terapiami (LSMD=-3,71; 95%CI: -9,47; 2,05; p=0,2066).

Z kolei, wyniki porównania bezpośredniego akoramidisu z placebo na podstawie RCT ATTRibute-CM (okres obserwacji: 30 mies.) wykazują istotną statystycznie przewagę w zakresie większości analizowanych punktów końcowych. W hierarchicznej ocenie skuteczności obejmującej zgon z dowolnej przyczyny, hospitalizację z przyczyn sercowo-naczyniowych, NT-proBNP oraz test 6-MWT, stwierdzono istotną statystycznie przewagę akoramidisu (WR=1,8; 95%CI: 1,4; 2,2; p<0,001). Akoramidis poprawiał także wydolność wysiłkową mierzoną 6-MWT (LSMD=39,60; 95%CI: 21,10; 58,20; p<0,001) oraz jakość życia pacjentów zgodnie z KCCQ-OS (LSMD=9,94; 95%CI: 5,97; 13,91; p<0,001).

W analizie bezpieczeństwa zgodnie z wynikami porównań pośrednich metodą Buchera, oba oceniane leki wykazały ogólnie porównywalny profil ryzyka, natomiast różni się charakterem obserwowanych zdarzeń niepożądanych

zaistniałych w trakcie leczenia (TEAEs). Akoramidis charakteryzował się rzadziej występującymi zaburzeniami serca (OR=0,56; 95%CI: 0,33; 0,96; p=0,0348), natomiast tafamidis, korzystniejszym profilem dotyczącym zaburzeń żołądkowo-jelitowych i neurologicznych. W grupie akoramidisu częściej obserwowano biegunkę (OR=3,29; 95%CI: 1,50; 7,22; p=0,003), zaburzenia układu nerwowego (OR=1,77; 95%CI: 1,06; 2,95; p=0,0279), dnę moczanową (OR=2,34; 95%CI: 1,05; 5,23; p=0,0376) oraz zaburzenia nerek i dróg moczowych (OR=1,83; 95%CI: 1,07; 3,11; p=0,0264).

Wytyczne kliniczne

Akoramidis jest zalecany jako jedna z alternatywnych terapii w amerykańskich wytycznych ACC z roku 2025 oraz w wytycznych iCARDIO z 2025 roku. W polskich wytycznych PTK z roku 2023 jest podany jako ewentualna alternatywa dopiero w trakcie badań klinicznych.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, objęcie refundacją produktu leczniczego Beyontra w wariantcie podstawowym spowoduje [] wydatków NFZ w wariantcie z RSS o [] w II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono siedem rekomendacji refundacyjnych dla przedmiotowego wskazania: pozytywną francuską HAS 2025 oraz warunkowo pozytywne: hiszpańską CIMP 2025, duńską Medicinrådet 2025, fińską Kela 2025, szwedzką TLV 2025, niderlandzką ZN 2025, angielską NICE 2026, portugalską Infarmed 2026 i norweską Nye Metoder 2026, a także dokument G-Ba 2025 dot. dodatkowej korzyści klinicznej wnioskowanego leku. W ww. rekomendacjach wskazuje się na porównywalny lub równoważny do tafamidisu profil skuteczności i bezpieczeństwa akoramidisu oraz zapewniane przez ten lek częściowe zaspokojenie potrzeby medycznej.

Główne argumenty decyzji

- Wyniki badań klinicznych wskazujące na podobny profil bezpieczeństwa i skuteczności do refundowanego już komparatora (tafamidisu);
- Neutralny wobec leczenia tafamidisem wpływ na budżet płatnika;
- Wytyczne towarzystw naukowych.

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: OTAP.423.2.4.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Beyonttra (akoramidis) we wskazaniu leczenie dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej, w ramach programu lekowego B.162 »Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)«”, data ukończenia: 17.02.2026 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 Bayer sp. z o. o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Bayer 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: Bayer sp. z o. o.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 29/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Darzalex (daratumumabum) w ramach
programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka
plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Darzalex (daratumumabum), roztwór do wstrzykiwań, 1800 mg (120 mg/ml), 1 fiol., GTIN: 05413868119596, w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Darzalex (daratumumab) w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD-10: C90.0)”.

Wnioskowane wskazanie obejmuje daratumumab w schemacie z bortezomibem, lenalidomidem i deksametazonem (DVRd) w terapii dorosłych pacjentów z nowo rozpoznany szpiczakiem plazmocytoowym (ang. multiple myeloma, MM), którzy kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych (ang. autologous stem cell transplantation, ASCT).

Daratumumab miałby być stosowany w leczeniu indukującym, konsolidującym i podtrzymującym.

Problem zdrowotny

Szpiczak plazmocytoowy (ang. plasma cell myeloma, PCM), szpiczak mnogi (ang. multiple myeloma, MM) to przebiegająca wieloetapowo choroba nowotworowa charakteryzująca się niekontrolowaną, wieloogniskową proliferacją i gromadzeniem monoklonalnych plazmocytoów w szpiku, wytwarzających monoklonalną immunoglobulinę lub same monoklonalne

łańcuchy lekkie immunoglobulin (tzw. białko M), powodujące uszkodzenia narządowe.

Epidemiologia

Szpiczak plazmocytowy stanowi ~1% wszystkich nowotworów złośliwych i ~14% nowotworów układu krwiotwórczego. Zapadalność roczna w Europie wynosi 4,5–6/100 000. Według Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK 2020), w Polsce stwierdza się ponad 1500 nowych zachorowań na MM rocznie, jednak liczba ta jest prawdopodobnie niedoszacowana.

Zgodnie z danymi NFZ, w ramach programu lekowego B.54 „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocyтового (ICD-10 C90.0)” w 2023 r. leczonych było 2 416 pacjentów, w 2024 roku 3 984 pacjentów, a w 2025 roku 3 997 pacjentów (stan na listopad 2025 r.).

Alternatywne technologie medyczne:

- DVTd (daratumumab, bortezomib, talidomid, deksametazon) - aktualnie stosowany u 20-90% pacjentów; to jest schemat niemal identyczny z wnioskowanym;
- VTd (bortezomib, talidomid, deksametazon) - aktualnie stosowany u 5-10% pacjentów;
- VCd (bortezomib, cyklofosfamid, deksametazon) - aktualnie stosowany u 5-30% pacjentów;
- VRd (bortezomib, lenalidomid, deksametazon) - aktualnie stosowany u 5% pacjentów;
- PAD (bortezomib, dokсорubicyna, deksametazon) - aktualnie stosowany u 20% pacjentów.

Dowody naukowe

Głównym dowodem naukowym są wyniki badania PERSEUS. Badanie jest w toku, opublikowano wyniki pierwszej analizy pośredniej przy medianie obserwacji 47,5 miesiąca. W grupie pacjentów stosujących DVRd >DR (daratumumab, lenalidomid) wykazano redukcję ryzyka progresji choroby o 58%, w porównaniu do grupy pacjentów stosujących VRd (bortezomid, lenalidomid, deksametazon) >R (lenalidomid) [HR=0,42 (95%CI: 0,30; 0,59), p<0,001]. Mediana PFS nie została osiągnięta w obu grupach. Dla punktu końcowego (PK) przeżycie wolne od progresji choroby w następnej linii leczenia (PFS2) nie wykazano IS różnicy. Dla punktu końcowego przeżycie całkowite nie wykazano istotnej statystycznie (IS) różnicy. Mediana OS nie została osiągnięta w obu grupach.

W porównaniu do VRd, w grupie interwencji wykazano IS wyższą częstość uzyskania negatywnej minimalnej choroby resztkowej (MRD) na poziomie 10-5 [RR=1,58 (95%CI: 1,40; 1,80), $p < 0,0001$].

W grupie interwencji odnotowano IS mniejszą częstość zaprzestania leczenia ogółem [RR=0,48 (95%CI: 0,39; 0,59)], z powodu progresji choroby [RR=0,40 (95%CI: 0,27; 0,60)] i zdarzeń niepożądanych [RR=0,41 (95%CI: 0,28; 0,60)].

Nie odnotowano IS różnic w jakości życia pacjentów w żadnej z domen kwestionariusza EORTC QLQ-C30 (globalna ocena stanu zdrowia, funkcjonowanie fizyczne, ból, zmęczenie). Wnioskodawca wskazuje na istotny statystycznie wynik globalnej oceny stanu zdrowia, jednak analiza przedziału ufności i wyliczona przez analityka Agencji wartość $p=0,32$ nie potwierdzają istotności statystycznej tego wyniku.

Głównym ograniczeniem analizy jest brak wyników bezpośredniego porównania terapii DVRd z aktualnie stosowaną w Polsce terapią DVTd. Wnioski o przewadze terapii DVRd nad DVTd wysnuwane są na podstawie porównań pośrednich. Wyniki badania PERSEUS sugerują, że terapia DVRd jest obiecująca (istotna poprawa PFS i głębokości odpowiedzi (MRD), lecz na tym etapie badania nie można jeszcze ocenić wpływu na OS.

Wytyczne kliniczne

Według wytycznych PGSz 2025, preferowane protokoły indukujące dla chorych z nowo rozpoznany szpiczakiem plazmocytowym, kwalifikujących się do auto-HSCT są następujące:

- DVTd (daratumumab, bortezomib, talidomid, deksametazon),
- VTd (bortezomib, talidomid, deksametazon),
- VCd (bortezomib, cyklofosfamid, deksametazon),
- VRd (bortezomib, lenalidomid, deksametazon),
- PAD (bortezomib, doksorubicyna, deksametazon).

Wytyczne NCCN 2025 oraz EHA-EMN 2025, jako preferowany schemat leczenia pierwszego rzutu dla pacjentów kwalifikujących się do auto-HSCT wskazują schemat DVRd (daratumumab + bortezomib + lenalidomid + deksametazon), będący przedmiotem niniejszej oceny oraz schemat IsaVRd (izatuksymab + bortezomib + lenalidomid + deksametazon), który nie jest aktualnie refundowany.

Według wytycznych NCCN z 2025 roku oraz EHA-EMN 2025, w terapii podtrzymującej „preferowany” jest lenalidomid. Natomiast daratumumab/lenalidomid znajduje się w NCCN w kategorii „Inne zalecane”.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie DVRd->DR w miejsce DVTd->R oraz VTd->R jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany

ICUR z RSS dla porównania DVRd->DR vs DVTd->R wyniósł [redacted] (wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji). Natomiast, oszacowany ICUR z RSS dla porównania DVRd->DR vs VTD->R wyniósł [redacted] (wartość ta znajduje się poniżej progu opłacalności).

Wpływ na budżet

W scenariuszu istniejącym wydatki całkowite płatnika publicznego wyniosą [redacted] odpowiednio w I i II roku.

W scenariuszu nowym z RSS koszty całkowite dla budżetu NFZ wyniosą [redacted] odpowiednio w I i II roku. W przypadku wprowadzenia finansowania leku Darzalex w schemacie DVRd->DR we wnioskowanym wskazaniu [redacted] płatnika publicznego wyniosą [redacted] odpowiednio w I i II roku.

Rada uważa, że dopóki klinicznie korzystne wyniki stosowania terapii DVRd nie zostaną potwierdzone w badaniach długofalowych, koszty terapii nie mogą tak znacznie przewyższać kosztów aktualnie stosowanej terapii.

Rekomendacje refundacyjne

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, Darzalex jest finansowany w 30 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych), lecz tylko w 4 - Austrii, Holandii, Luksemburgu i Niemczech, jest finansowany w ocenianym schemacie DVRd, we wskazaniu zgodnym z przedmiotem oceny (stan na 28.08.2025 r.).

Główne argumenty decyzji:

- Według wytycznych PGSz 2025, preferowane protokoły indukujące dla chorych z nowo rozpoznany szpiczakiem plazmocytowym, kwalifikujących się do auto-HSCT nie przewidują schematu DVRd;
- Preferowanie daratumumabu w terapii podtrzymującej jest niezgodne z aktualnymi wytycznymi NCCN i stanowi główne obciążenie dla budżetu płatnika w tym programie;
- Brakuje wyników bezpośredniego porównania, wskazujących na wyższość terapii DVRd nad aktualnie stosowaną w Polsce DVTd;
- W ocenianym schemacie DVRd, Darzalex jest finansowany tylko w 4 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych).

Uwagi Rady:

Przy konstruowaniu kolejnego projektu programu B.54 wskazane byłoby rozważyć opcję terapii podtrzymującej, zgodną z aktualnymi wytycznymi międzynarodowymi (tzn. bez daratumumabu).

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: OTAD.423.2.7.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Darzalex (daratumumab) we wskazaniu: w ramach programu lekowego B.54. »Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytozy (ICD-10: C90.0)«”, data ukończenia: 19 lutego 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.) 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: Janssen - Cilag Polska Sp. z o.o.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 24/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
o projekcie programu „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy
i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców
gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest PPZ w zakresie wykrywania jaskry, zaćmy oraz AMD zaplanowany do realizacji przez gminę Konstancin-Jeziorna.

Populację stanowią mieszkańcy gminy w wieku 55 lat i więcej z dodatnim wywiadem rodzinnym w kierunku chorób narządu wzroku, niebędący pod opieką poradni okulistycznej (około 100 osób).

Cel główny programu:

Podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki chorób narządu wzroku wśród co najmniej 70% uczestników programu.

Czas realizacji – rok 2026.

Budżet programu – 100.000 zł.

Program sfinansowany z budżetu gminy Konstancin-Jeziorna.

W ramach programu zaplanowano:

- *działania informacyjno-edukacyjne,*
- *konsultację okulistyczną z badaniami przesiewowymi i edukacją zdrowotną:*
 - *kwalifikację do programu,*
 - *indywidualną edukację pacjenta w zakresie profilaktyki chorób narządu wzroku,*
 - *przekazanie pacjentowi materiałów edukacyjnych,*

- badanie podmiotowe,
- podstawowe badanie diagnostyczne wg indywidualnych wskazań.

Agencja opiniowała już podobny projekt programu gminy Konstancin-Jeziorna. Prezes Agencji wydał opinię negatywną nr 185/2016 z dnia 29.09.2016 r. Większość uwag w obecnie ocenianym projekcie PPZ uwzględniono.

Świadczenia gwarantowane z zakresu diagnostyki chorób oczu u dorosłych realizowane są w ramach AOS. Na terenie gminy nie funkcjonuje żaden podmiot wykonujący świadczenie z zakresu okulistyki. W całym powiecie piaseczyńskim świadczenia te realizowane są przez 3 podmioty, a według danych z Map Potrzeb Zdrowotnych średni czas oczekiwania na świadczenia w poradni okulistycznej wynosi w woj. mazowieckim 118 dni (prawie cztery miesiące).

Rekomendacje kliniczne:

- rekomendacje nie są zgodne co do zasadności realizacji badań przesiewowych w kierunku jaskry;
- w wytycznych podkreśla się konieczność przeprowadzenia w ramach diagnostyki chorób oczu dokładnego wywiadu z pacjentem;
- po zakończeniu badania oczu i wzroku należy omówić z pacjentem plan leczenia oraz rokowania;
- istotną rolę odgrywają działania edukacyjne i informacyjne.

Dowody skuteczności klinicznej:

- badania przesiewowe ukierunkowane na grupy wysokiego ryzyka mogą być opłacalne kosztowo;
- większość przeanalizowanych potencjalnych testów przesiewowych wykazywała wartość na poziomie 85 % lub wyższą;
- badania przesiewowe stwarzają większą szansę rozpoznania przypadków pozytywnych niż badania bezpośrednie.

Uwagi Rady:

- W ramach budżetu przewidziano komplet dodatkowych badań na wszystkich uczestników, natomiast w treści projektu wskazano, że mają być one wykonywane u pacjentów wg indywidualnych wskazań zdrowotnych.
- Koszt badania ruchomości gałek ocznych jest przeszacowany.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.1.2026 „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”, realizowany przez: gminę Konstancin-Jeziorna, Warszawa, luty 2026 oraz Aneksu „Programy profilaktyki i wczesnego wykrywania jaskry – wspólne podstawy oceny” z września 2021 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 25/2026 z dnia 2 marca 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.a., populacja pediatryczna,

- *C15.0 szyjna część przełyku;*
- *C15.1 piersiowa część przełyku;*
- *C15.2 brzuszna część przełyku;*
- *C15.3 górna trzecia część przełyku;*
- *C15.4 środkowa trzecia część przełyku;*
- *C15.5 dolna trzecia część przełyku;*
- *C15.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku;*
- *C15.9 przełyk, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.0 wpust;*
- *C16.1 dno żołądka;*
- *C16.2 trzon żołądka;*
- *C16.3 ujście odźwiernika;*
- *C16.4 odźwiernik;*
- *C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.6 krzywizna większa żołądka, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie żołądka;*
- *C16.9 żołądek, umiejscowienie nieokreślone;*

- C17.0 dwunastnica;
- C17.1 jelito czcze;
- C17.2 jelito kręte;
- C17.3 Uchyłek Meckela;
- C17.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita cienkiego;
- C17.9 jelito cienkie, umiejscowienie nieokreślone;
- C18.0 jelito ślepe;
- C18.1 wyrostek robaczkowy;
- C18.2 okrężnica wstępująca;
- C18.3 zgięcie wątrobowe;
- C18.4 okrężnica poprzeczna;
- C18.5 zgięcie śledzionowe;
- C18.6 okrężnica zstępująca;
- C18.7 esica;
- C18.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita grubego;
- C18.9 okrężnica, umiejscowienie nieokreślone;
- C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczo odbytniczego;
- C20 nowotwór złośliwy odbytnicy;
- C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa;
- C48.1 określona część otrzewnej;
- C48.2 otrzewna, umiejscowienie nieokreślone;
- C48.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Refundacja leków zawierających substancję czynną sunitinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych określonych w niniejszej opinii była już przedmiotem opiniowania przez Radę Przejrzystości. W opinii nr 53/2023 z dnia 3 kwietnia 2023 roku Rada Przejrzystości uznała refundowanie sunitynibu w ww. wskazaniach pozarejestacyjnych za zasadne, wskazując m.in., że grupa nowotworów podścieliskowych układu pokarmowego (GIST) jest bardzo rzadka w populacji pediatrycznej, zaś wytyczne kliniczne nie różnicują sposobu leczenia populacji pacjentów pediatrycznych względem dorosłych.

Aktualnie sunitynib jest stosowany i refundowany dla populacji pediatrycznej we wskazaniach wymienionych w załączniku C.88.a. do obwieszczenia

refundacyjnego, tj. u pacjentów (w tym dzieci) z GIST i potwierdzoną immunohistochemicznie ekspresją CD 117, po niepowodzeniu leczenia imatynibem w wyniku progresji lub nietolerancji.

Dowody naukowe

Najnowsze wytyczne kliniczne (BJC 2025, GEIS 2023, NCCN 2026) wymieniają sunitynib jako standardowe leczenie drugiego rzutu, nie wskazując odrębnego sposobu leczenia dla populacji pediatrycznej.

W publikacji Popoiu 2024 dotyczącej populacji pediatrycznej również wymienia się sunitynib jako leczenie 2. linii, wskazując przy tym, że nowsze badania sugerują brak wyraźnej odpowiedzi guza poza stabilizacją choroby.

Główne argumenty decyzji

- Wytyczne kliniczne zalecają leczenie sunitynibem w przypadku nieskuteczności lub nietolerancji imatynibu;
- Brak danych wskazujących na zasadność zmiany wcześniejszego stanowiska Rady.

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 26/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
imatinibum 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 imatinibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.70.d., populacja pediatryczna,

- *C15.0 szyjna część przełyku;*
- *C15.1 piersiowa część przełyku;*
- *C15.2 brzuszna część przełyku;*
- *C15.3 górna trzecia część przełyku;*
- *C15.4 środkowa trzecia część przełyku;*
- *C15.5 dolna trzecia część przełyku;*
- *C15.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przełyku;*
- *C15.9 przełyk, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.0 wpust;*
- *C16.1 dno żołądka;*
- *C16.2 trzon żołądka;*
- *C16.3 ujście odźwiernika;*
- *C16.4 odźwiernik;*
- *C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.6 krzywizna większa żołądka, umiejscowienie nieokreślone;*
- *C16.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie żołądka;*
- *C16.9 żołądek, umiejscowienie nieokreślone;*

- C17.0 dwunastnica;
- C17.1 jelito czcze;
- C17.2 jelito kręte;
- C17.3 Uchyłek Meckela;
- C17.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita cienkiego;
- C17.9 jelito cienkie, umiejscowienie nieokreślone;
- C18.0 jelito ślepe;
- C18.1 wyrostek robaczkowy;
- C18.2 okrężnica wstępująca;
- C18.3 zgięcie wątrobowe;
- C18.4 okrężnica poprzeczna;
- C18.5 zgięcie śledzionowe;
- C18.6 okrężnica zstępująca;
- C18.7 esica;
- C18.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie jelita grubego;
- C18.9 okrężnica, umiejscowienie nieokreślone;
- C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczo odbytniczego;
- C20 nowotwór złośliwy odbytnicy;
- C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa;
- C48.1 określona część otrzewnej;
- C48.2 otrzewna, umiejscowienie nieokreślone;
- C48.8 zmiana przekraczająca granice jednego umiejscowienia w obrębie przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy substancji czynnej imatynib we wskazaniu pozarejestracyjnym: leczenie nowotworów podścieliska przewodu pokarmowego (GIST) w populacji pediatrycznej.

Imatynib w ocenianym wskazaniu jest aktualnie refundowany w ramach chemioterapii, w tym w populacji pediatrycznej. Nowotwory GIST są niezwykle rzadkie u dzieci, 1-2 przypadki rocznie. Poprzednia pozytywna opinia Rady Przejrzystości AOTMiT nr 55/2023 została wydana dnia 3.04.2023 r.

Główne argumenty decyzji

- 1. Brak nowych danych naukowych od czasu wydania poprzedniej opinii, które uzasadniałyby konieczność jej zmiany*
- 2. Imatynib jest stosowany w populacji pediatrycznej w innych wskazaniach i jego refundacja związana jest z zaspokojeniem potrzeby klinicznej*

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 27/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
sorafenibum 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 sorafenibum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.89.a., u dorosłych pacjentów z histologicznie potwierdzonym zaawansowanym/przerzutowym nowotworem podścieliska przewodu pokarmowego (GIST), z niepowodzeniem wcześniejszego leczenia imatynibem oraz sunitynibem,

- *C15.0 szyjna część przełyku;*
- *C15.1 piersiowa część przełyku;*
- *C15.2 brzuszna część przełyku;*
- *C15.3 górna trzecia część przełyku;*
- *C15.4 środkowa trzecia część przełyku;*
- *C15.5 dolna trzecia część przełyku;*
- *C15.8 zmiana przekraczająca granice przełyku;*
- *C15.9 przełyk, nieokreślony;*
- *C16.0 wpust;*
- *C16.1 dno żołądka;*
- *C16.2 trzon żołądka;*
- *C16.3 ujście odźwiernika;*
- *C16.4 odźwiernik;*
- *C16.5 krzywizna mniejsza żołądka, nieokreślona;*
- *C16.6 krzywizna większa żołądka, nieokreślona;*
- *C16.8 zmiana przekraczająca granice żołądka;*

- C16.9 żołądek, nieokreślony;
- C17.0 dwunastnica;
- C17.1 jelito czcze;
- C17.2 jelito kręte;
- C17.3 Uchyłek Meckela;
- C17.8 zmiana przekraczająca granice jelita cienkiego;
- C17.9 jelito cienkie, nieokreślone;
- C18.0 jelito ślepe;
- C18.1 wyrostek robaczkowy;
- C18.2 okrężnica wstępująca;
- C18.3 zgięcie wątrobowe;
- C18.4 okrężnica poprzeczna;
- C18.5 zgięcie śledzionowe;
- C18.6 okrężnica zstępująca;
- C18.7 esica;
- C18.8 zmiana przekraczająca granice okrężnicy;
- C18.9 okrężnica, nieokreślona;
- C19 nowotwór złośliwy zgięcia esiczoodbytniczego;
- C20 nowotwór złośliwy odbytnicy;
- C48.0 przestrzeń zaotrzewnowa;
- C48.1 określona część otrzewnej;
- C48.2 otrzewną, nieokreślona;
- C48.8 zmiana przekraczająca granice przestrzeni zaotrzewnowej i otrzewnej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Leki zawierające substancję czynną sorafenibum we wskazaniach pozarejestacyjnych związanych z GIST były przedmiotem oceny kilkakrotnie i otrzymały pozytywną opinię Rady. W poprzedniej opinii (nr 57/2023 z dnia 3 kwietnia 2023 roku) Rada wskazała wytyczne polskie (PTOK 2019) i amerykańskie (NCCN 2023) oraz podkreśliła, że w Polsce zastosowanie sorafenibu w leczeniu GIST w populacji chorych, u których imatynib i sunitynib były nieskuteczne, jest nadal jedyną dostępną refundowaną opcją terapeutyczną.

Dowody naukowe

W wyniku aktualizacji odnaleziono najnowsze wytyczne międzynarodowe (Beecroft 2024, BSG 2025, GEIS 2023, NCCN 2026), które zalecają stosowanie

w trzeciej linii leczenia, tj. po niepowodzeniu terapii imatynibem i sunitynibem, regorafenibu. Przy czym NCCN wskazuje również na badania wykazujące skuteczność terapii sorafenibem w przypadku progresji choroby po leczeniu imatynibem i sunitynibem i wymienia ten lek wśród dodatkowych opcji terapeutycznych w przypadku niepowodzeń we wcześniejszych liniach leczenia.

Najnowsze dane naukowe nie dostarczają nowych informacji, które podważyłyby dotychczasowe dane dotyczące skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa sorafenibu.

W Polsce nadal sorafenib pozostaje jedyną dostępną refundowaną opcją terapeutyczną w leczeniu GIST w populacji chorych, u których imatynib i sunitynib były nieskuteczne.

Główne argumenty decyzji

- Brak innych refundowanych opcji terapeutycznych;
- Brak nowych danych w zakresie bezpieczeństwa i skuteczności ocenianej terapii, które uzasadniałyby zmianę poprzedniej decyzji Rady.

Uwaga Rady:

Rada wskazuje na zmieniające się wytyczne kliniczne wskazujące na zastępowanie sorafenibu nowocześniejszym regorafenibem (który obecnie nie jest w Polsce objęty refundacją w ocenianym wskazaniu).

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 28/2026 z dnia 2 marca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
brentuximabum vedotinum 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 brentuximabum vedotinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- *B.77.: różnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów we wskazaniu: nawrotowy lub oporny na leczenie chłoniak Hodgkina (HL) w populacji pediatrycznej;*
- *B.66.: różnicowanie opisu dawkowania w zależności od wieku pacjentów we wskazaniu: nawrotowy lub oporny na leczenie układowy chłoniak anaplastyczny z dużych komórek CD30+ (sALCL) w populacji pediatrycznej.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dnia 24 lipca 2017 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię nr 217/2017 w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w schemacie dawkowania leku Adcetris (brentuximabum vedotinum), w ramach programu lekowego B.77: „Leczenie opornych i nawrotowych postaci chłoniaków CD30+ (C81 Choroba Hodgkina; C84.5 Inne i nieokreślone chłoniaki T)”, dopuszczając jego stosowanie u dzieci w pozarejestacyjnej dawce 1,2 mg/kg m.c. (max. 120 mg).

Następnie pozytywna opinia Rady została podtrzymana w opinii nr 117/2020 z dnia 18 maja 2020 r. Jednocześnie Rada uznała za zasadną zmianę w programie lekowym polegającą na dopuszczeniu do stosowania u pacjentów w wieku poniżej 18. roku życia również dawki 1,8 mg/kg m.c., stosowanej już u dorosłych. Kolejne pozytywne stanowisko Rady zostało przedstawione w opinii nr 60/2023 z 11 kwietnia 2023 r.

Zgodnie z aktualnie obowiązującym programem lekowym B.77 w leczeniu chorych na opornego lub nawrotowego chłoniaka Hodgkina (HL), a także zgodnie z programem lekowym B.66 w leczeniu chorych na nawrotowego lub opornego na leczenie układowego chłoniaka anaplastycznego z dużych komórek zalecana dawka brentuksymabu vedotin (BV) u pacjentów w wieku poniżej 18 roku życia wynosi 1,8 mg/kg mc. podawana we wlewie dożylnym trwającym 30 minut co 3 tygodnie lub 1,2 mg/kg mc. (max. 120 mg) co 7 lub 14 dni.

Dowody naukowe

Odnaleziono nowe wytyczne kliniczne dotyczące stosowania BV w opiniowanych wskazaniach, jednak co do zasady nie odnoszą się one do kwestii dawkowania leków.

Wytyczne NCCN 2023 przedstawiają schematy dawkowania w przypadku terapii podstawowej HL, wskazując schemat podawania skojarzonego: Bv-AVE-PC (BV, doksorubicyna, winkrystyna, etopozyd, prednizon, cyklofosfamid), gdzie BV stosowany jest w dawce 1,8 mg/kg mc. max dawka 180 mg, Bv-AVD (BV, doksorubicyna, winblastyna, dakarbazyna), gdzie BV stosowany jest w dawce 1,2 mg/kg mc. max dawka 100 mg, AEPA-CAPDAC (AEPA: BV, etopozyd, prednizon, doksorubicyna; CAPDAC: cyklofosfamid, BV, prednizon, dakarbazyna) z dawką BV na poziomie 1,2 mg/kg mc, max dawka 120 mg oraz CAPDAC (cyklofosfamid, BV, prednizon, dakarbazyna) z dawką BV na poziomie 1,2 mg/kg mc, max dawka 120 mg.

W leczeniu opornego lub nawrotowego HL wytyczne NCCN 2023 wymieniają BV, ale nie odnoszą się do jego dawkowania.

W publikacji Marks 2025 (American Society of Hematology 2025) wskazano, że opcje leczenia pacjentów z nawrotowym lub opornym chłoniakiem anaplastycznym z dużych komórek (ALCL) wzrosły w erze terapii celowanych, takich jak BV, ale nie odniesiono się do schematów dawkowania.

Odnaleziono publikację Zhou 2025, która dotyczy pacjentów pediatrycznych z nowo rozpoznanym HL w zaawansowanym stadium. Dane z dwóch badań pediatrycznych zostały wykorzystane do analizy farmakokinetyki populacyjnej. Badanie 1 było badaniem fazy I/II z eskalacją dawki, w którym pacjenci z nawrotowym lub opornym na leczenie układowym chłoniakiem anaplastycznym z dużych komórek lub HL otrzymywali pojedynczą dawkę leku BV opartą na masie ciała w dawce 1,4–1,8 mg/kg co 3 tygodnie. Badanie 2 testowało BV w dawce 48 mg/m² opartą na powierzchni ciała (BSA) co 2 tygodnie w połączeniu z AVD (adriamycyna, winblastyna, dakarbazyna) u pacjentów z zaawansowanym stadium nowo rozpoznanego HL. Dawki BV oparte na BSA prowadziły do podobnej ekspozycji systemowej ADC i MMAE u pacjentów pediatrycznych we wszystkich grupach wiekowych (<12, 12–16 i >16 lat). Istotny wzrost ($P < 0,05$) częstości neutropenii gorączkowej był związany

ze wzrastającą ekspozycją na MMAE. Nie stwierdzono wyraźnego związku pomiędzy ekspozycją na ADC lub MMAE a PFS. Analizy wspierają dawkowanie BV oparte na BSA w połączeniu z AVD u pacjentów pediatrycznych, przy czym dotyczy to pacjentów z nowo rozpoznanym chłoniakiem Hodgkina w zaawansowanym stadium.

Publikacja Zhang 2024 skupiła się na farmakokinetyce BV u pacjentów pediatrycznych w wieku 2–11 lat. Ta populacyjna analiza farmakokinetyczna obejmowała dane z pięciu badań u dorosłych i trzech badań pediatrycznych. Zarówno populacja dorosłych, jak i dzieci otrzymywała BV w dawce 1,8 mg/kg (maksymalnie 180 mg) co 3 tygodnie. Punkty końcowe obejmowały całkowity odsetek odpowiedzi, obwodową neuropatię stopnia ≥ 2 (PN) oraz neutropenię stopnia ≥ 3 . Analiza miała na celu ocenę wpływu dawkowania opartego o masę ciała a BSA na profil farmakokinetyczny dla dzieci.

Autorzy wskazali, że jakkolwiek ekspozycja na BV była niższa u pacjentów w wieku 2 do <12 lat w porównaniu z ≥ 12 lat, jednak nie zaobserwowano wyraźnych klinicznie istotnych różnic w skuteczności, neuropatii obwodowej stopnia ≥ 2 ani neutropenii stopnia ≥ 3 . Dane te wspierają dawkowanie BV oparte na masie ciała u pacjentów niezależnie od wieku w związku z tym dostosowanie dawki u osób w wieku 2 do <12 lat nie wydaje się uzasadnione.

Podsumowując, od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania.

Główne argumenty decyzji:

- Brak danych wskazujących na zasadność zmiany wcześniejszego stanowiska Rady.

Uwaga Rady:

- Konieczne jest dalsze bieżące monitorowanie wytycznych klinicznych i badań naukowych dotyczących ewentualnej zasadności dawkowania BV w populacji pediatrycznej w oparciu o powierzchnię ciała.

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).