



DOR.001.6.2026.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 11/2026
w dniu 16 marca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 9:58.

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

1. Artur Bachta
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Małgorzata Dziedziak
5. Paweł Grzesiewski
6. Marcin Kołakowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Tomasz Pasierski
9. Małgorzata Sznitowska
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 Bupropion Neuraxpharm (bupropioni hydrochloridum) we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresji.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Hymravzi (marstacimabum) w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD Anamix Infant, MSUD Anamix Junior, MSUD Anamix Junior LQ, MSUD Gel, MSUD Cooler, MSUD Express, MSUD Lophlex LQ, we wskazaniach: choroba syropu klonowego, deficyt beta-ketotiolazy, deficyt hydrolazy 3-hydroksyzobutyrylo-CoA.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Zdrowe serce Lubelszczyzny – program kompleksowej rehabilitacji kardiologicznej”.

6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnych ramiprilum + indapamidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.
7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniu pozarejestacyjnym: zespół gumniastych zmian barwnikowych.
8. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej prednisonum we wskazaniu pozarejestacyjnym: miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia.
9. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej budesonidum we wskazaniach pozarejestacyjnych: indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające; indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.
10. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Andrzej Dąbrowski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do punktu 6 porządku obrad (ramiprilum + indapamidum), w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania.

Małgorzata Sznitowska zadeklarowała konflikt interesów odnoszący się do punktu 6 porządku obrad (ramiprilum + indapamidum), w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu jej z głosowania.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Bupropion Neuraxpharm.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski, Marcin Kołakowski, Artur Bachta, Aleksandra Zasada i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Artur Bachta i Paweł Grzesiewski.

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

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

Ad 3. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Hympavzi.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Aleksandra Zasada, Małgorzata Dziedziak, Ewa Obuchowicz i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Ewa Obuchowicz i Małgorzata Dziedziak.

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

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 dane z raportu dot. zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MSUD Anamix Infant, MSUD Anamix Junior, MSUD Anamix Junior LQ, MSUD Gel, MSUD Cooler, MSUD Express, MSUD Lophlex LQ.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli Małgorzata Sznitowska i Tomasz Pasierski.

Projekt stanowiska Rady przygotował i przedstawił Marcin Kołakowski.

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

Ad 5. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze elementy programu polityki zdrowotnej z zakresu kompleksowej rehabilitacji kardiologicznej (woj. Lubelskie).

Projekt opinii Rady przygotował i doprecyzował Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. substancji czynnych ramiprilum + indapamidum we wskazaniu pozarejestacyjnym.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Prowadzący doprecyzował treść uchwały, a następnie zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” oraz 2 głosami „wstrzymującymi” z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Ewa Obuchowicz przedstawiła projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej sirolimusum.

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. Aleksandra Zasada przedstawiła projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej prednisonum.

Tomasz Pasierski doprecyzował treść uchwały.

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

Ad 9. Andrzej Dąbrowski przedstawił projekt opinii Rady do tematu dot. substancji czynnej budesonidum.

Głos w dyskusji zabrali Małgorzata Sznitowska i Andrzej Dąbrowski.

Tomasz Pasierski doprecyzował treść uchwały.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:27.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 31/2026 z dnia 16 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Bupropion Neuraxpharm (bupropioni
hydrochloridum) we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresji

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Bupropion Neuraxpharm (bupropionu chlorowoderek), tabletki o zmodyfikowanym uwalnianiu, 150 mg, 30 tabl., GTIN: 05909991454562,*
- *Bupropion Neuraxpharm (bupropionu chlorowoderek), tabletki o zmodyfikowanym uwalnianiu, 300 mg, 30 tabl., GTIN: 05909991450892,*

we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresji, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej (187.0) i wydawanie go za odpłatnością 30%, pod warunkiem obniżenia kosztów terapii do zbliżonych z innymi lekami przeciwdepresyjnymi.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Bupropion Neuraxpharm we wskazaniu: leczenie dużych epizodów depresji u osób dorosłych.

Dowody naukowe

Dostępne badania naukowe obejmują porównanie skuteczności Bupropionu z trazodonem, wenlafaksyną i duloksetyną, opracowania wtórne – przeglądy systematyczne, oraz jedno badanie RWE. Wyniki wskazują na podobną skuteczność wnioskowanej terapii do terapii alternatywnych.

Wytyczne kliniczne

Aktualnie wśród opcji terapeutycznych, wskazywanych w wytycznych klinicznych, w leczeniu dużych epizodów depresji u dorosłych wskazuje się leki przeciwdepresyjne o różnych mechanizmach działania m.in. fluoksetynę, fluwoksaminę, citalopram escitalopram, setralinę, paroksetynę, wenlafaksynę, duloksetynę, deswenlafaksynę, lewomilnacipran, milnacipran, mianserynę, mirtazapinę, moklobemid, agomelatynę, wortioteksynę czy wilazodon.

Bupropion jest wymieniany jako jedna z opcji leczenia pierwszego rzutu w przedmiotowym wskazaniu w wytycznych większości towarzystw naukowych, w tym Polskiego Towarzystwa Psychiatrycznego.

Problem ekonomiczny

Wprowadzenie finansowania Bupropionu Neuraxpharm będzie się wiązało z niższymi kosztami dla płatnika w porównaniu do terapii lekami: mianseryną, moklobemidem, agomelatyną, wortioksetyną, klomipraminą, tianeptyną i duloksetyną, oraz wyższymi w porównaniu do pozostałych refundowanych substancji czynnych.

Rekomendacje refundacyjne

Obecnie produkt leczniczy Bupropion Neuraxpharm refundowany jest w 4 krajach UE i EFTA (Austria, Czechy, Niemcy i częściowo Słowacja).

Główne argumenty decyzji

- Podobna skuteczność w leczeniu dużych epizodów depresji, do innych leków refundowanych w tym wskazaniu;*
- możliwa opcja terapeutyczna u pacjentów z depresją z „zahamowaniem” i zaburzeniami uwagi;*
- większe obciążenie dla płatnika w porównaniu z niektórymi refundowanymi substancjami czynnymi w przedmiotowym wskazaniu.*

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.423.4.2.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Bupropion Neuraxpharm (bupropionu chlorowodorek) we wskazaniu: Leczenie dużych epizodów depresji”, data ukończenia: 06.03.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 32/2026 z dnia 16 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Hympavzi (marstacymab) w ramach programu
lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci i dorosłych
z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Hympavzi (marstacymab), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 150 mg/ml, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05415062127490, we wskazaniu: rutynowa profilaktyka epizodów krwawienia u chorych w wieku 12 lat i starszych, z ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII (FVIII) lub z ciężką hemofilią B bez inhibitorów czynnika IX (FIX), w ramach programu lekowego B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Marstacymab (MAR) jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym IgG1 skierowanym przeciwko domenie Kunitza 2 (K2) inhibitora szlaku zależnego od czynnika tkankowego (ang. tissue factor pathway inhibitor, TFPI) czyli głównego inhibitora zewnętrznej kaskady krzepnięcia. Efektem działania MAR jest zwiększenie dostępności wolnego czynnika Xa, co z kolei prowadzi do zwiększenia wytwarzania trombiny i promowania hemostazy. Produkt leczniczy Hympavzi jest podawany podskórnie, raz w tygodniu. Lek dopuszczony do obrotu w listopadzie 2024 r.

Ciężka hemofilia A (niedobór czynnika VIII <1%) oraz ciężka hemofilia B (niedobór czynnika IX <1%) to wrodzone, sprzężone z chromosomem X skazy krwotoczne, wynikające z mutacji genów FVIII lub FIX, prowadzące do głębokiego upośledzenia wtórnej hemostazy i skłonności do nawracających, często samoistnych krwawień do stawów, mięśni i narządów wewnętrznych, co skutkuje postępującą artropatią, bólem i niepełnosprawnością.

W ramach programu lekowego B.15. (ICD-10: D66, D67) produkt leczniczy Hymravzi (marstacymab) ma być stosowany:

- 1) w pierwotnej i wtórnej profilaktyce epizodów krwawienia u dzieci od 12 r.ż., o masie ciała co najmniej 35 kg, z ciężką hemofilią A (wrodzony niedobór czynnika VIII, aktywność FVIII \leq 1%) bez inhibitorów czynnika VIII lub 2) z ciężką hemofilią B (wrodzony niedobór czynnika IX, aktywność FIX \leq 1%) bez inhibitorów czynnika IX;
- 2) u dorosłych (od 18 rż.) – kryteria kwalifikacji: ciężka hemofilia A (wrodzony niedobór czynnika VIII, aktywność FVIII \leq 1%) lub ciężka hemofilia B (wrodzony niedobór czynnika IX, aktywność FIX \leq 1%); wykluczenie obecności inhibitorów czynnika VIII lub inhibitorów czynnika IX w chwili włączenia chorego do programu lekowego; poprzednio prawidłowo stosowana profilaktyka krwawień u chorych z ciężką postacią hemofilii A lub B;
- 3) u pacjentów, którzy byli leczeni marstacymabem i wymagają kontynuacji leczenia.

Produkt leczniczy Hymravzi nie jest aktualnie refundowany i stosowany w Polsce.

Dowody naukowe

Brak badań bezpośrednich porównujących MAR z komparatorami stosowanymi w praktyce klinicznej (FVIII/IX, emicizumab, efanezoktokog alfa).

Wyniki jednokierunkowego badania III fazy BASIS (porównanie wewnątrzsobnicze między fazą obserwacji, w której stosowano koncentraty FVIII/IX w ramach profilaktyki, a fazą aktywnego leczenia MAR), wskazały, że profilaktyka MAR istotnie zmniejszyła roczny wskaźnik krwawień (ABR) w porównaniu z wcześniejszą profilaktyką czynnikiem FVIII/FIX, spełniając najpierw kryterium nie mniejszej skuteczności, a następnie wykazując przewagę w zakresie krwawień leczonych (redukcja o 35,5% [95%CI: 6,2; 55,7], w trakcie 12-mies. fazy aktywnego leczenia). Wyniki w podgrupach podkreślały istotne klinicznie i statystycznie zmniejszenie wskaźnika ABR dla krwawień leczonych u pacjentów z hemofilią A i osób dorosłych (odpowiednio: różnica -3,96 [95%CI: -7,14; -0,77] oraz -3,43 [95%CI: -6,60; -0,25]). W grupie pacjentów z hemofilią B wyniki były niekorzystne dla MAR. W przedłużeniu badania BASIS LTE obserwowano dalszą redukcję wskaźnika ABR dla krwawień leczonych i częstości pozostałych krwawień (mediana obserwacji: 30 mies.).

Obserwowano istotną klinicznie, ale nie statystycznie, poprawę stanu stawów ocenianą wg skali HJHS (różnica median: -2,0 [95%CI: -4,3; 0,3], $p=0,0835$ dla 6 mies. i -2,2 [95%CI: -4,8; 0,3], $p=0,0836$ dla 12 mies. okresu obserwacji) oraz nieistotną statystycznie różnicę między grupami w zakresie poprawy jakości życia

na podstawie kwestionariuszy Haem-A-QoL (dla chorych > 17 r.ż.) i Haemo-QoL (od 12 do 17 r.ż.). Główne ograniczenia analizy – mała liczebność próby, zwłaszcza osób 12 – 18 r.ż. i różny czas trwania faz profilaktyki i terapii.

Analiza bezpieczeństwa wykazała wysoką częstość zdarzeń niepożądanych w badaniu BASIS (AEs) przy stosowaniu MAR w stosunku do wcześniejszej, krótszej profilaktyki czynnikowej. Obserwowano zdarzenia o nasileniu łagodnym lub umiarkowanym. Częstość ciężkich AEs była zbliżona do obserwowanej przy profilaktyce czynnikowej. Po ok. trzech latach stosowania MAR odnotowano jeden przypadek zakrzepicy żył głębokich.

Brak danych z rzeczywistej praktyki klinicznej.

Wytyczne kliniczne

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi (Polskie Towarzystwo Onkologii i Hematologii Dziecięcej 2022; International Society on Thrombosis and Haemostasis 2024) w profilaktyce epizodów krwawienia są stosowane: koncentraty czynnika VIII (FVIII); osoczopochodne, rekombinowane, w tym ultra-długodziałający efaneczoktokog alfa u pacjentów poniżej 18 r.ż. u chorych z ciężką hemofilią A bez inhibitorów FVIII; koncentraty czynnika IX (FIX; osoczopochodne, rekombinowane) u chorych z ciężką hemofilią B bez inhibitorów FIX; emicizumab (EMI) u chorych poniżej 18 r.ż. z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitorów FVIII. Wytyczne z 2025 roku jako opcję terapeutyczną wymieniają także marstacymab (hemofilia A i B) oraz koncizumab (hemofilia B z inhibitorem). Wczesna i długoterminowa profilaktyka pozwala zapobiegać krwawieniom i hamować rozwój uszkodzeń stawowych. Rokowanie przy prawidłowej profilaktyce jest dobre, a długość życia zbliżona do populacji ogólnej. W podanych wskazaniach koncentraty FVIII i FIX oraz emicizumab są refundowane.

Problem ekonomiczny

Stosowanie MAR jest droższe od terapii komparatorami: FVIII/FIX w populacji pediatrycznej i dorosłych, emicizumabem (EMC) i efaneczoktokogiem alfa (EFA) w populacji pediatrycznej. Komparatorem o najniższym CUR we wskazaniu hemofilia A jest FVIII, a we wskazaniu hemofilia B FIX (dot. to zarówno populacji pediatrycznej, jak i populacji dorosłych).

W leczeniu hemofilii A produktem Hymravzi (MAR), oszacowany ICUR w populacji pediatrycznej wyniósł [redacted], a w populacji dorosłych [redacted] z RSS. W leczeniu hemofilii B oszacowany ICUR w populacji pediatrycznej wyniósł [redacted] a w populacji dorosłych [redacted]

[redacted] z RSS. Po uwzględnieniu RSS koszty terapii EMC (Hemlibra) są o [redacted] większe w populacji pediatrycznej oraz mniejsze o [redacted] w populacji dorosłych w porównaniu do kosztów stosowania Hymravzi.

Zestawienie kosztów stosowania oraz efektów zdrowotnych technologii wnioskowanej vs. EFA w populacji pediatrycznej – koszty MAR [redacted] z RSS, efekty [redacted] vs. koszty EFA [redacted].

Przedstawione dane są powyżej aktualnej wysokości progu użyteczności kosztowej, która wynosi 244 821 zł/QALY.

Przy szacunkowej liczbie pacjentów (dzieci od 12 rż. i dorosłych) z hemofilią A

[redacted] wydatki dla płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS wyniosą ogółem [redacted]

[redacted]. Refundacja leku Hymravzi w profilaktyce krwawień u osób z hemofilią A w populacji dorosłych i dzieci wiąże się ze wzrostem wydatków NFZ o [redacted]

[redacted] Wydatki NFZ związane z refundacją wnioskowanej terapii w zapobieganiu krwawień u osób z hemofilią B wzrosną o [redacted] w wariantcie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

We wnioskowanym wskazaniu Hymravzi (marstacymab) jest finansowany w trzech krajach UE i EFTA, tj. w Danii, Niemczech i Szwajcarii. Negatywne rekomendacje refundacyjne HAS, NICE i G-BA.

Główne argumenty decyzji

- Brak jednoznacznych danych klinicznych, które potwierdzałyby lepszą skuteczność terapeutyczną i bezpieczeństwo stosowania marstacimabu w porównaniu do preparatów FVIII/FIX lub emicizumabu;
- Krótki okres od dopuszczenia do obrotu – możliwość niedoszacowania działań niepożądanych;
- Znaczący brak efektywności kosztowej wnioskowanej terapii;
- Znaczny wzrost wydatków dla płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 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.423.2.3.2025 „Wniosek o objęcie refundacją leku Hymravzi (marstacymab) w ramach programu lekowego Zapobieganie krwawieniom u dzieci i dorosłych z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)”, data ukończenia: 3 marca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 33/2026 z dnia 16 marca 2026 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego MSUD Anamix Infant, MSUD Anamix Junior, MSUD Anamix Junior LQ, MSUD Gel, MSUD Cooler, MSUD Express, MSUD Lophlex LQ w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- *MSUD Anamix Infant,*
- *MSUD Anamix Junior,*
- *MSUD Anamix Junior LQ,*
- *MSUD Gel,*
- *MSUD Cooler,*
- *MSUD Express,*
- *MSUD Lophlex LQ,*

we wskazaniach: choroba syropu klonowego, deficyt beta-ketotiolazy, deficyt hydrolazy 3-hydroksyizobutyrylo-CoA.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problemem decyzyjnym jest kontynuacja refundacji wskazanych technologii we wskazaniach: choroba syropu klonowego, deficyt beta-ketotiolazy, deficyt hydrolazy 3-hydroksyizobutyrylo-CoA. Rada we wcześniejszych stanowiskach, m.in. w roku 2022, opowiadała się pozytywnie za refundacją. Mamy tu do czynienia z liczbą około 30 pacjentów, dzieci i dorosłych, wymagających modyfikacji żywienia. Pacjenci ci wymagają diety ubogiej w białko. Jedynym dostępnym zaleceniem jest taki typ diety, jednakże wspomaganie jej śsspż, jak wymienione powyżej, przyczynia się do poprawy stanu zdrowia i lepszego rozwoju.

Dowody naukowe

Odnośząc się do dowodów naukowych na pierwszym miejscu należy wskazać, że w przypadku śsspż bardzo często mamy problem z uzyskaniem silnych dowodów naukowych. Pomijając fakt, że mamy do czynienia z chorobami rzadkimi bądź ultra-rzadkimi to dodatkowo sam charakter produktu, który nie jest lekiem determinuje mniejsze zainteresowanie naukowców. Jednakże, pojawiają się pewne doniesienia potwierdzające zasadność wzbogacania diety o niskobiałkowe śsspż. Od czasu ostatniej pozytywnej oceny Rady pojawiły się dwa dokumenty będące konsensusami ekspertów zalecającymi stosowanie we wskazaniach: choroba syropu klonowego, deficyt beta-ketotiolazy, deficyt hydrolazy 3-hydroksyizobutyrylo-CoA diety z ograniczeniem leucyny, izoleucyny i waliny. Zgodnie z opinią jednego z ankietowanych ekspertów cyt.: „Wprowadzenie FSMP, mających zastosowanie w MSUD znacznie ułatwia leczenie pacjentów i pozwala na osiągnięcie większej skuteczności leczenia, poprzez przestrzeganie zaleceń dietetycznych”. Należy również mieć na uwadze, że wszystkie dowody i rekomendacje, które posłużyły jako podstawa do wydania wcześniejszego stanowiska Rady nie uległy zmianom bądź dezaktualizacji. Dostępne wytyczne zalecają:

- dietę ubogą w BCAA (w tym stosowanie odpowiednich formuł białkowych bez BCAA);
- odpowiednią podaż płynów;
- zapewnienie właściwego bilansu energetycznego i równowagi kwasowo-zasadowej;
- stabilizację parametrów biochemicznych;
- suplementację preparatami zawierającymi izoleucynę i walinę w celu zapobiegania niedoborom;
- kontrolowanie poziomu leucyny we krwi.

Dodatkowo zgodnie z wynikami badania Pretese 2024, dietoterapia u pacjentów z MSUD obejmująca stosowanie formuł aminokwasowych pozbawionych BCAA sprzyja utrzymaniu stabilnego BMI oraz prawidłowej masy tkanki tłuszczowej; jedynie u dwóch pacjentów pediatrycznych wartości te znajdowały się w górnej granicy normy. W badaniu wykazano również, że wraz ze wzrostem spożycia białka o 1 punkt procentowy wskaźnik beztłuszczowej masy ciała (LBMI) w postaci z-score zwiększał się średnio o 0,15 punktu, co było istotne statystycznie ($p = 0,01$; $R^2 = 0,5402$). Jednocześnie zaobserwowano, że wzrost spożycia mieszanki aminokwasowej pozbawionej BCAA o jedną jednostkę wiązał się z niewielkim spadkiem wskaźnika gęstości mineralnej kości (BMD) z-score o $-0,023$ ($p = 0,02$; $R^2 = 0,48$).

U pacjentów pediatrycznych profil BCAA był na ogół prawidłowy – jedynie u 1 z 5 odnotowano średni poziom leucyny przekraczający zakres referencyjny określony w wytycznych. Wśród dorosłych podwyższony poziom leucyny występował u połowy badanych (4/8). Autorzy wskazują, że zarówno u dorosłych, jak i u dzieci parametry składu ciała pozostawały przeciętnie w granicach wartości referencyjnych dla masy tkanki tłuszczowej oraz beztłuszczowej masy ciała. Podkreślono również, że mimo ograniczonego spożycia naturalnego białka, mieszanki aminokwasowe pozbawione BCAA mogą sprzyjać utrzymaniu stabilnej beztłuszczowej masy ciała. Jednocześnie zwrócono uwagę na wysoki odsetek osteopenii w badanej populacji (70%), z tendencją do pogarszania się wyników wraz z wiekiem, szczególnie u pacjentów z klasyczną postacią MSUD.

Problem ekonomiczny

W roku 2022 z refundowanego leczenia korzystało 29 pacjentów, a ich terapia kosztowała 1,9 mln PLN. Z danych pozyskanych od MZ, w roku 2025 było to 27 pacjentów, a koszt refundacji wynosił 2,8 mln PLN. Należy mieć na uwadze, że przedmiotowe produkty stosują dzieci i dorośli, co powoduje, że trudno jednoznacznie przewidzieć liczbę opakowań, która zostanie zużyta w roku.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna, ponieważ poza dietą brak jest technologii możliwych do zastosowania,*
- *Choroby rzadkie,*
- *Brak przesłanek do zmiany wcześniejszych stanowisk Rady.*

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 na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OTOW.4211.1.2025 (Aneks do opracowania: OT.4211.4.2022) „MSUD Anamix Infant, MSUD Anamix Junior, MSUD Anamix Junior LQ, MSUD Gel, MSUD Cooler, MSUD Express, MSUD Lophlex LQ we wskazaniach: choroba syropu klonowego, deficyt beta-ketotiolazy, deficyt hydrolazy 3-hydroksyizobutyrylo-CoA”, data ukończenia: 12 marca 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 33/2026 z dnia 16 marca 2026 roku
o projekcie programu „Zdrowe serce Lubelszczyzny – program kompleksowej rehabilitacji kardiologicznej” (woj. lubelskie)

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Zdrowe serce Lubelszczyzny – program kompleksowej rehabilitacji kardiologicznej” (woj. lubelskie),

Uzasadnienie

Jest to kolejna wersja projektu programu poprzednio ocenionego negatywnie zarówno przez Radę, jak i Prezesa AOTMiT.

Wnioskodawca nie odniósł się do poprzedniej uwagi Rady i nadal uwzględnia w programie zbyt szeroką populację, w której działania rehabilitacyjne nie znajdują uzasadnienia, tj.:

11.9 (choroba nadciśnieniowa z zajęciem serca bez (zastoinowej) niewydolności serca), 149.1 (przedwczesna depolaryzacja przedsionkowa (pobudzenie przedsionkowe)), 149.3 (przedwczesna depolaryzacja komór (pobudzenie komorowe)), 149.8 (inne określone zaburzenia rytmu serca (np. zatokowe, węzłowe, pozazatokowe)). U uczestników programu z tymi rozpoznaniem program nie ma szans zmienić jakiegokolwiek wskaźnika na lepsze.

Z tego głównie powodu cel główny projektu, jakim jest poprawa o co najmniej 10% wyników 6-minutowego testu marszowego u co najmniej 30% uczestników programu, ani cele szczegółowe: 2, 4, 5, 6 i 7 są niemożliwe do osiągnięcia.

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.451.6.2026 „Zdrowe serce Lubelszczyzny – program kompleksowej rehabilitacji kardiologicznej” realizowany przez: Województwo Lubelskie, Warszawa, marzec 2026 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r. i Raportu nr DPPZ.434.6.2025: „Profilaktyka chorób układu sercowo-naczyniowego, nadciśnienia tętniczego i hipercholesterolemii” z grudnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 34/2026 z dnia 16 marca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
ramiprilum + indapamidum w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne ramiprilum + indapamidum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problem decyzyjny odnosi się do oceny zasadności objęcia refundacją, ze środków publicznych, leków zawierających w składzie: ramiprilum + indapamidum w zakresie wskazania do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL, w ramach kategorii aptecznej.

Analiza danych Narodowego Funduszu Zdrowia z lat 2018–2022 wskazuje, że w Polsce liczba pacjentów z nadciśnieniem tętniczym utrzymuje się na stałym poziomie i wynosi około 11 milionów. Choroba ta dotyka 34–35% dorosłych.

Obecność którejkolwiek z chorób sercowo-naczyniowych i nerek wiąże się z bardzo dużym ryzykiem sercowo-naczyniowym i wymaga niezwłocznego intensywnego leczenia przeciwnadciśnieniowego. Zwiększone zagrożenie stwarza również pojawienie się powikłań narządowych związanych z nadciśnieniem tętniczym. Nawet niewielkie obniżenie ciśnienia tętniczego wiąże się ze zmniejszeniem ryzyka powikłań sercowo-naczyniowych i zgonu.

Aktualnie, zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2025 r. w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia

żywnościowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2026 r. w Polsce finansowane są 4 produkty lecznicze zawierające ww. skojarzenie:

- Polpril Plus, kaps. twarde, 10+1,25 mg, 28 szt. GINT: 05903060630277;
- Polpril Plus, kaps. twarde, 10+2,5 mg, 28 szt. GINT: 05903060630291;
- Polpril Plus, kaps. twarde, 5+1,25 mg, 28 szt. GINT: 05903060630239;
- Polpril Plus, kaps. twarde, 5+2,5 mg, 28 szt. GINT: 05903060630253.

Produkty te zostały objęte refundacją od dnia 1 stycznia 2026 r. we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji. Zostały dołączone do grupy limitowej: „44.0, Inhibitory konwertazy angiotensyny - produkty jednoskładnikowe i złożone”, z poziomem odpłatności 30%. Wraz z objęciem refundacją ww. produkty lecznicze zostały ujęte w wykazie D2 i tym samym są dostępne bezpłatnie dla osób, które ukończyły 65. rok życia, podobnie jak inne refundowane produkty złożone z ww. grupy limitowej. Wskazanie zarejestrowane tych produktów złożonych obejmuje: „Leczenie nadciśnienia tętniczego jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, u których ciśnienie tętnicze jest odpowiednio kontrolowane za pomocą ramiprilu i indapamidu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych”. Wskazania rejestracyjne preparatów jednoskładnikowych zawierających ramipril lub indapamid obejmują m.in.: leczenie nadciśnienia tętniczego.

Ramipril należy do klasy związków: „Inhibitory konwertazy angiotensyny (AEC)”, natomiast indapamid należy do klasy związków: „diuretyk tiazydopodobny”. W ramach grupy limitowej 44.0 są aktualnie refundowane inne preparaty złożone, zawierające skojarzenie AEC + diuretyk tiazydowy/tiazydopodobny:

- Lisinoprilum + Hydrochlorothiazidum (preparaty Lisiprol HCT);
- Perindopriili tosilas + Indapamidum (preparaty Indix Combi);
- Perindoprilum argininum + Indapamidum (preparaty: Noliprel Bi-Forte, Noliprel Forte, Tertensif Bi-Kombi, Tertensif Kombi);
- Ramiprilum + Hydrochlorothiazidum (preparaty: Ampril HD, Ampril HL, Tritace 2,5 Comb, Tritace 5 Comb);
- tert-Butylamini Perindoprilum + Indapamidum (preparaty: Co-Prenessa).

Wszystkie powyższe preparaty skojarzone są refundowane we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji. Prawie wszystkie z powyższych preparatów (z wyjątkiem jednego ze skojarzeń Perindopriili tosilas + Indapamidum: „Indix Combi, tabl. powł., 2,5+0,625 mg”) są refundowane w ramach wskazań off-label obejmujących: „nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL”. Poziom odpłatności wynosi „ryczałt”.

Wskazanie zarejestrowane preparatów: Lisiprol HCT, Noliprel Bi-Forte, Tertensif Bi-Kombi, Co-Prenessa, jest tożsame ze wskazaniem zarejestrowanym ocenianych preparatów Polpril Plus.

Dowody naukowe

Analizę oparto o dwa przeglądy systematyczne z metaanalizą: Weisser 2019 oraz Parati 2021 – oceniające skuteczność tabletek złożonych pod względem stosowania się do terapii nadciśnienia, trwania pacjenta w terapii oraz osiągnięcia docelowego ciśnienia krwi w porównaniu do schematu leczenia z zastosowaniem produktów w wolnych skojarzeniach.

Autorzy przeglądów Weisser 2019 i Parati 2020 wykazali, że stosowanie produktów wieloskładnikowych jednotabletkowych wpływało na lepsze przestrzeganie zaleceń lekarskich oraz wytrwanie pacjenta w terapii, a w konsekwencji przekładało się na poprawę kontroli ciśnienia krwi w porównaniu do stosowania kilku tabletek jednocześnie.

Przeglądy systematyczne Weisser 2019 oraz Parati 2021 nie przeprowadziły oceny bezpieczeństwa.

Wytyczne krajowe (PTNT 2024) i pięć zagranicznych (ESC 2024, NICE 2023, WHO HT 2021, ISH 2020 oraz HCG 2020) wymieniają 5 głównych grup terapeutycznych zalecanych w leczeniu nadciśnienia tętniczego: diuretyki tiazydowe lub tiazydopodobne, beta-adrenolityki, antagoniści wapnia (blokery kanałów wapniowych, CCB), inhibitory enzymu konwertazy angiotensynowej (ACEi) i leki blokujące receptor angiotensyny AT1 (ARB, sartany). Wyżej wymienione wytyczne zalecają rozpoczęcie terapii nadciśnienia tętniczego od dwuskładnikowego leczenia skojarzonego: ACEi lub ARB + diuretyk tiazydopodobny/tiazydowy lub CCB, podkreślając, że monoterapia powinna być rozważona tylko w określonych przypadkach. W przypadku niepowodzenia leczenia skojarzonego dwoma lekami, zaleca się włączenie trzeciego leku, aby uzyskać połączenie: ACEi lub ARB + diuretyk tiazydopodobny/tiazydowy + CCB.

Wytyczne nie wskazują na konkretne produkty lecznicze, ani też na konkretne połączenia substancji, a jedynie na zalecane połączenia grup terapeutycznych. Oceniany produkt leczniczy Polpril Plus składa się z inhibitora konwertazy angiotensyny, ACEi (ramipril) oraz z diuretyka tiazydopodobnego (indapamid), zawiera więc połączenie grup substancji rekomendowane przez wytyczne.

Główne argumenty decyzji

- Istotny wpływ wszystkich składników na oczekiwany efekt terapeutyczny;
- Poprawa kontroli ciśnienia tętniczego;
- Wskazanie zarejestrowane już refundowanych preparatów jest tożsame ze wskazaniem zarejestrowanym ocenianych preparatów;

- *Postępowanie zgodne z wytycznymi towarzystw naukowych;*
- *Pozytywne rekomendacje ekspertów klinicznych.*

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), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OTAD.415.2.2026 „Ramiprilum + Indapamidum we wskazaniu pozarejestacyjnym: nadciśnienie tętnicze u osób dorosłych, w przypadkach innych niż określono w ChPL”, Data ukończenia: 11 marca 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 35/2026 z dnia 16 marca 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. zespół gumiastych zmian barwnikowych

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną sirolimus w wskazaniach pozarejestacyjnych: zespół gumiastych zmian barwnikowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotychczas Rada Przejrzystości 4-krotnie wydawała opinię w sprawie zasadności finansowania ze środków publicznych produktów leczniczych zawierających sirolimus w wskazaniu innym niż ujęte w jego charakterystyce, tj.: zespół gumiastych zmian barwnikowych. Rada dwukrotnie wydała opinie negatywne w 2015 r. (nr 161/2015) i w 2017 r. (nr 205/2017), a dwie kolejne opinie były pozytywne (nr 125/2020 i nr 67/2023).

Zespół gumiastych zmian barwnikowych (ang. blue rubber bleb nevus syndrome, BRBNS) to rzadka choroba charakteryzująca się występowaniem licznych malformacji naczyń i przewodu pokarmowego (najczęściej w jelicie cienkim i okrężnicy). Częstym objawem choroby jest przewlekła niedokrwistość z niedoboru żelaza oraz nawracające krwawienia z przewodu pokarmowego. W leczeniu stosuje się m.in. zabiegi endoskopowe. Obraz kliniczny choroby został przedstawiony w pracy Becq i wsp. (2024; Digestive and Liver Diseases) na podstawie największego kohortowego wieloośrodkowego badania (liczba pacjentów n=44) przeprowadzonego w krajach Europy.

Sirolimus jako inhibitor mTOR blokuje nieprawidłową angiogenezę, hamuje nadmierny wzrost naczyń, skutecznie redukując rozmiar istniejących zmian

naczyniowych i zmniejsza ryzyko krwawień z przewodu pokarmowego. W wyniku stosowania tego leku stwierdzono wzrost stężenia hemoglobiny. Stwierdzono, że terapia pozwala na ustabilizowanie choroby, a więc jest skuteczna w zespole BRBNS.

Dowody naukowe

Aktualny przegląd baz danych medycznych: bazy Medline (Pubmed), Embase, Cochrane Library (materiały naukowe opublikowane od stycznia 2023 r.) nie zmienia wnioskowania wynikającego z analiz przeprowadzonych w 2020 r. i 2023 r. Wytyczne SISAV 2022 rekomendują stosowanie sirolimusu u pacjentów z zespołem BRBNS w celu poprawy stanu skóry i opanowania krwawień z jelit. Wprawdzie nie ma obecnie jednoznacznie sprecyzowanych obowiązujących standardów postępowania terapeutycznego w BRBNS, to do leków stosowanych również w populacji pediatrycznej (Goyal i wsp. 2025; Indian Journal of Dermatology, Venereology and Leprology; Liu i wsp., 2025; Frontiers in Pediatrics) należy sirolimus (rapamycyna).

W pracy Rimondi i wsp., (2024; Digestive Endoscopy), autorzy podsumowali wyniki dotyczące wszystkich dotychczas opisanych przypadków klinicznych (n=106) z zespołem BRBNS. Po stosowaniu terapii (endoskopia, zabiegi chirurgiczne, farmakoterapia) poprawę kliniczną odnotowano u 92,4% chorych. Farmakoterapia jest 2 linią leczenia, zalecaną w przypadku nieskuteczności zabiegów endoskopowych lub w przypadku nawrotu choroby. Sirolimus podawany doustnie był najczęściej stosowanym lekiem (n=33 pacjentów) i okazał się skuteczny u wszystkich chorych. Był bardziej skuteczny niż ewerolimus, talidomid i oktreotyd. Sirolimus w terapii skojarzonej z glikokortykosteroidem okazał się nawet skuteczny u noworodka z zespołem BRBNS i zagrażającym życiu zjawiskiem Kasabach-Merritt (Pi i wsp. 2023; Frontiers in Pediatrics). Sirolimus dość często wywołuje działania niepożądane, które jednak są łagodne – najczęściej powoduje wzrost aktywności enzymów wątrobowych, stan zapalny błon śluzowych jamy ustnej i trądzik (Rimondi i wsp., 2024; Digestive Endoscopy), hipertiglicydemię, zwiększoną podatność na infekcje układu oddechowego (Qi i wsp. 2025; World Journal of Gastroenterology).

Główne argumenty decyzji

- Brak nowych danych klinicznych, które uzasadniałyby zmianę wcześniejszych pozytywnych opinii Rady;

- *Wyniki badań wskazują, że sirolimus jest skutecznym produktem leczniczym w zespole BRBNS.*

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 36/2026 z dnia 16 marca 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną prednisonum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną prednisonum we wskazaniach pozarejestacyjnych: miopatia wrodzona u dzieci do 18 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W poprzedniej opinii (nr 69/2023 z dnia 17 kwietnia 2023 roku) Rada wskazała, że rekomendacje odnoszące się do miopatii wrodzonych (ICSCCMD 2010, ICSCCM 2012) dotyczyły głównie interwencji nefarmakologicznych i nie zawierały informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów. Odnaleziono trzy publikacje: Dowling 2018 – przegląd dotyczący leczenia zaburzeń nerwowo mięśniowych u dzieci oraz prace poglądowe: Claeys 2019 i Gineste 2023 dotyczące miopatii wrodzonych. We wszystkich ww. publikacjach wskazano, że nie ma obecnie terapii zatwierdzonych oraz jednoznacznie zalecanych w leczeniu miopatii wrodzonych.

Poza grupą miopatii wrodzonych, do grupy pierwotnych zaburzeń mięśniowych (G71) zalicza się inne choroby wrodzone z zaburzeniami mięśniowymi, w tym dystrofie mięśniowe czy miopatie mitochondrialne. W poprzedniej opinii Rada wskazała, że wytyczne kliniczne rekomendują prednizon w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a/Beckera (SEN 2019, DMDCCWG 2018, NDDBAN 2017, AAN 2016) i młodzieńczym zapaleniu skórno-mięśniowym (Żuber 2019).

Rada wydała opinię, że refundacja powinna być kontynuowana, a brak dowodów potwierdzających jednoznacznie skuteczność i bezpieczeństwo może wynikać z rzadkiego i niejednorodnego charakteru ocenianej jednostki chorobowej.

Dowody naukowe

Odnalezione najnowsze wytyczne kliniczne AHA 2023, Harmelink 2024 i Pasrija 2023 nie zawierają informacji o zastosowaniu glikokortykosteroidów. Wytyczne kliniczne ESC 2023 rekomendują prednizon w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a. Z kolei w przeglądzie Spillane 2025 wskazano prednizon jako jeden z leków mogących redukować miotonię.

Odnalezione publikacje naukowe, w tym opisy przypadków, wskazują na skuteczność prednizonu w terapii miopatii.

Nie odnaleziono wytycznych klinicznych i opublikowanych danych klinicznych, które wymagałyby zmiany poprzedniego wniosku Rady.

Główne argumenty decyzji

- *Brak nowych danych, które uzasadniałyby zmianę poprzedniej decyzji Rady;*
- *Bardzo niski koszt terapii.*

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 37/2026 z dnia 16 marca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
budesonidum 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 budesonidum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające;*
- indukcja remisji u pacjentów pediatrycznych z łagodną do umiarkowanej, aktywną postacią choroby Leśniowskiego-Crohna z zajęciem jelita grubego, gdzie leczenie preparatami 5-ASA jest niewystarczające.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Poprzednio, dwukrotnie – w latach 2020 i 2023, Rada uznała za zasadną refundację leków zawierających budesonidum w wymienionych powyżej wskazaniach pozarejestacyjnych.

Dowody naukowe

W zakresie choroby Leśniowskiego-Crohna nadal obowiązują wytyczne opublikowane w 2021 roku - ECCO Guideline/Consensus Paper, The Medical Management of Paediatric Crohn's (Journal of Crohn's and Colitis, 2021, 171–194).

W zakresie wrzodziejącego zapalenia jelita grubego, w 2025 roku ukazały się wytyczne ESPGHAN (J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2025;1–51).

W obu wytycznych utrzymano zalecenia dotyczące budesonidu.

Według aktualnej wiedzy, u dzieci budezonid ma większe znaczenie w indukcji remisji w chorobie Leśniowskiego-Crohna (CD) niż we wrzodziejącym zapaleniu jelita grubego (UC). W CD budezonid jest opcją w łagodnej chorobie krętniczokątniczej, zwłaszcza gdy wyłączone żywienie jelitowe (EEN) nie wywołuje remisji choroby lub nie jest wykonalne.

W ambulatoryjnym, aktywnym łagodnym–umiarkowanym UC, doustne glikokortykosteroidy są leczeniem drugiej linii po braku odpowiedzi na 5-ASA (doustne i/lub doodbytnicze). W tej grupie, budezonid może być rozważony jako steroid o mniejszym efekcie ogólnoustrojowym, ale nie jako standard pierwszego wyboru; poziom dowodów pediatrycznych jest niski i w dużej mierze opiera się to na ekstrapolacji z dorosłych.

W dystalnym UC/proctitis preparaty doodbytnicze z budezonidem mogą być przydatne głównie u pacjentów nietolerujących 5-ASA, ale aktualne wytyczne podkreślają, że doodbytnicza mesalazyna jest skuteczniejsza niż doodbytnicze steroidy w indukcji remisji. W pediatrycznym UC budezonid jest więc raczej opcją uzupełniającą/alternatywną, a nie lekiem preferowanym do rutynowej indukcji remisji.

W pediatrycznej chorobie Leśniowskiego-Crohna wytyczne zalecają, by u dzieci z aktywną luminalną CD, pierwszą linią indukcji remisji było EEN. Kortykosteroidy są alternatywą, gdy EEN jest źle tolerowane albo nieskuteczne. W tej sytuacji, jeśli choroba ma postać łagodnej lokalizacji krętniczokątniczej, budezonid o uwalnianiu jelitowym jest preferowany względem prednizolonu. Jednocześnie wytyczne zaznaczają, że nie ma dowodów korzyści budezonidu w bardziej dystalnym zapaleniu okrężnicy. Najważniejszą zaletą budezonidu jest to, że jego profil działań niepożądanych jest korzystniejszy niż klasycznych glikokortykosteroidów stosowanych systemowo.

Biorąc pod uwagę powyższe dane, Rada uznaje za zasadne kontynuowanie finansowania budezonidu we wnioskowanym wskazaniu pozarejestacyjnym.

Główny argument decyzji

- Stosowanie budezonidu we wnioskowanych wskazaniach pozarejestacyjnych jest nadal zalecane w aktualnych wytycznych międzynarodowych;
- Brak przesłanek do zmiany wcześniejszej decyzji 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).