



DOR.001.8.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 13/2026
w dniu 30 marca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 09:57.

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

1. Artur Bachta
2. Paweł Grzesiewski
3. Roman Junik
4. Maciej Karaszewski
5. Elżbieta Lanc
6. Ewa Obuchowicz
7. Jacek Rubik
8. Anna Socha-Banasiak
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 Skyrizi (risankizumabum) w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Skyrizi (risankizumabum) w ramach programu lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)”.
4. Przygotowanie opinii w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Alhemo (concizumab) do PPZ „Narodowy Program Leczenia chorych na Hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: dla pacjentów z hemofilią A lub B powikłaną inhibitorem.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „REGIONALNY PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ –

Zdrowe starzenie się – rehabilitacja i leczenie uzdrowiskowe dla mieszkańców Gminy Kamień Pomorski (2025–2029)".

6. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Alhemo, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 4 proponowanego porządku obrad. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

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

Ad 2. Analityk Agencji omówił raport odnoszący się do leku Skyrizi w ramach programu lekowego B.55. dot. WZJG.

Głos zabrali Małgorzata Sznitowska i Maciej Karaszewski.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów, który odpowiadał także na pytania. Gość przedstawił także stanowisko dot. leku Skyrizi w ramach programu lekowego B.32. dot. choroby Leśniowskiego – Crohna.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Artur Bachta i Roman Junik.

Rady kontynuowała dyskusję, w czym udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Ewa Obuchowicz, Artur Bachta, Aleksandra Zasada, Maciej Karaszewski i Roman Junik.

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

Ad 3. Analityk Agencji zaprezentował dane o leku Skyrizi w ramach programu lekowego B.32. dot. choroby Leśniowskiego – Crohna.

Głos zabrali: Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Małgorzata Sznitowska i Jacek Rubik, a przedstawiła Małgorzata Sznitowska.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Jacek Rubik i Maciej Karaszewski.

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

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił prezentację odnoszącą się do leku Alhemo w ramach Narodowego Programu Leczenia chorych na Hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Głos zabrali Małgorzata Sznitowska i Maciej Karaszewski, a projekt opinii Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Anna Socha-Banasiak, Maciej Karaszewski, Małgorzata Szniłowska, Aleksandra Zasada i Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje o programie polityki zdrowotnej gm. Kamień Pomorski z zakresu rehabilitacji.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Treść uchwały doprecyzował Maciej Karaszewski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 głosów „za”) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:06.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 38/2026 z dnia 30 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Skyrizi (risankizumabum) w ramach programu
lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem
jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Skyrizi (risankizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 180 mg, 1 wkład, GTIN: 08054083029955;*
- *Skyrizi (risankizumabum), roztwór do wstrzykiwań, 360 mg, 1 wkład, GTIN: 08054083025186;*
- *Skyrizi (risankizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 600 mg, 1 fiolka, GTIN: 08054083025179,*

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

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Skyrizi (ryzankizumab) w leczeniu dorosłych pacjentów z czynnym wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego, u których odpowiedź na leczenie jest niewystarczająca, którzy przestali odpowiadać na leczenie lub nie tolerowali leczenia konwencjonalnego lub biologicznego.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Skyrizi jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. W leczeniu indukcyjnym stosuje się podanie we wlewie dożylnym, a w podtrzymującym – we wstrzyknięciu podskórnym.

WZJG jest rozlanym nieswoistym procesem zapalnym błony śluzowej odbytnicy lub odbytnicy i okrężnicy, mogącym prowadzić do powstania owrzodzeń, ropni i przetok. Często objawy utrzymują się stale, powodując znaczne obniżenie jakości życia, oraz konieczność leczenia operacyjnego powikłań choroby. WZJG należy wraz z chorobą Leśniowskiego-Crohna do grupy nieswoistych chorób zapalnych jelit o nieustalonej etiologii.

Ryzankizumab (RIS) jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym należącym do podklasy 1 immunoglobuliny typu G (IgG1), które z wysokim powinowactwem selektywnie wiąże się z podjednostką p19 ludzkiej cytokiny interleukiny 23 (IL-23) bez wiązania się z IL-12 i hamuje jej interakcję z kompleksem receptora dla IL-23, cytokiny zaangażowanej w odpowiedź zapalną i immunologiczną. Blokując wiązanie IL-23 z jej receptorem, ryzankizumab hamuje uwalnianie cytokin prozapalnych.

W ramach Programu Lekowego B.55 finansowane są obecnie leki: infliksymab (INF); wedolizumab (WED); tofacytynib (TOF); ustekinumab (UST); filgotynib (FIL); ozanimod (OZA); upadacytynib (UPA) i mirikizumab (MIRI).

Dowody naukowe

Skuteczność ryzankizumabu vs placebo w przedmiotowym wskazaniu została potwierdzona w wysokiej jakości badaniach klinicznych, zarówno w fazie indukcji (badanie INSPIRE) jak i podtrzymania (badanie COMMAND).

Nie prowadzono natomiast bezpośrednich porównań z innymi technologiami medycznymi przyjętymi jako komparatory.

Nie odnaleziono badań dotyczących wnioskowanej interwencji z rzeczywistej praktyki klinicznej.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne kliniczne Polskiego Towarzystwa Gastroenterologicznego, jak i towarzystw międzynarodowych (ACG, AGA, ECCO) uwzględniają ryzankizumab jako jedną z terapii biologicznych zalecaną w leczeniu indukcyjnym oraz podtrzymującym chorych na WZJG o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, oraz po niepowodzeniu leczenia klasycznego.

Szczególne korzyści z terapii biologicznych mogą odnosić pacjenci z manifestacjami pozajelitowymi, chorobami współistniejącymi, a także osoby starsze, u których częściej występują choroby współistniejące oraz większe ryzyko działań niepożądanych innych terapii oraz kobiety w ciąży lub planujące ciążę.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w populacji pacjentów bez wcześniejszego niepowodzenia terapii, stosowanie ryzankizumabu w miejsce

progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

Z kolei w populacji pacjentów po niepowodzeniu zaawansowanej terapii, stosowanie ryzankizumabu w miejsce

progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

W przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ryzankizumabu ze środków publicznych oraz z uwzględnieniem zasad umowy podziału ryzyka nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego. Prognozowany wzrost wydatków całkowitych, w przypadku uwzględnienia RSS, wyniesie około [REDACTED] PLN w 1. roku oraz [REDACTED] PLN w 2. roku. Z kolei w przypadku braku uwzględnienia zasad umowy podziału ryzyka, wydatki płatnika publicznego wzrosną o około [REDACTED] PLN w 1. roku oraz około [REDACTED] PLN w 2. roku w stosunku do scenariusza istniejącego.

Głównym ograniczeniem analizy wpływu na budżet jest niepewność związana z oszacowaną liczebnością populacji docelowej.

Rekomendacje refundacyjne

Preparat Skyrizi refundowany jest w 8 krajach UE i EFTA, w tym w 7 we wskazaniach ograniczonych do WZJG.

Główne argumenty decyzji

- Brak dowodów naukowych na przewagę nad komparatorami;
- Wysokie koszty dla płatnika publicznego.

Uwaga Rady

Koszty terapii produktem nie powinny być wyższe niż koszty innych leków biologicznych objętych refundacją.

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.4131.2.2026 „Wniosek o objęciu refundacją leku Skyrizi (ryzankizumab) we wskazaniu: w ramach programu lekowego B.55. Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”; data ukończenia 18.02.2026 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 (AbbVie Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AbbVie 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: (AbbVie Sp. z o.o.).



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 39/2026 z dnia 30 marca 2026 roku
w sprawie oceny leku Skyrizi (ryzankizumab) w ramach programu
lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą
Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktów leczniczych:

- *Skyrizi (ryzankizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 600 mg, 1 fiolka, GTIN: 08054083025179,*
- *Skyrizi (ryzankizumab), roztwór do wstrzykiwań we wkładzie, 360 mg, 1 wkład, GTIN: 08054083025186,*

w ramach programu lekowego B.32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie ich bezpłatnie, pod warunkiem, że koszty terapii produktem nie będą wyższe niż koszty pozostałych immunoterapii objętych refundacją.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Skyrizi (ryzankizumab) w leczeniu dorosłych chorych z czynną chorobą Leśniowskiego-Crohna (ChLC) o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego, u których odpowiedź na wcześniejsze leczenie jest niewystarczająca, którzy przestali odpowiadać na leczenie lub nie tolerowali leczenia konwencjonalnego lub biologicznego w ramach programu lekowego B. 32. „Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50)”.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Skyrizi jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. W leczeniu indukcyjnym stosuje się podanie we wlewie dożylnym, a w podtrzymującym – we wstrzyknięciu podskórnym.

Chorobę Leśniowskiego-Crohna (ICD-10: K50) zalicza się do grupy chorób zapalnych przewodu pokarmowego oraz do nieswoistych chorób zapalnych jelit. Zmiany zapalne zazwyczaj mają charakter ogniskowy, ale mogą również występować na długości całego przewodu pokarmowego. Często objawy utrzymują się stale i powodują znaczną niepełnosprawność oraz konieczność operacji z powodu powikłań choroby. Zapadalność w krajach UE wynosi

5/100 000/rok. Choroba rozpoczyna się zwykle w wieku 15–25 lat lub około 50. r.ż. i występuje z podobną częstością u obu płci.

Ryzankizumab (RIS) jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym należącym do podklasy 1 immunoglobuliny typu G (IgG1), które z wysokim powinowactwem selektywnie wiąże się z podjednostką p19 ludzkiej cytokiny interleukiny 23 (IL-23) bez wiązania się z IL-12 i hamuje jej interakcję z kompleksem receptora dla IL-23, cytokiny zaangażowanej w odpowiedź zapalną i immunologiczną. Blokując wiązanie IL-23 z jej receptorem, ryzankizumab hamuje uwalnianie cytokin prozapalnych.

Decyzja Komisji Europejskiej o dopuszczeniu do obrotu ryzankizumabu we wnioskowanym wskazaniu została wydana 23 listopada 2022 r. (pierwsze dopuszczenie do obrotu w roku 2019).

Obecnie produkt leczniczy Skyrizi finansowany jest w ramach programu lekowego B.47. „Leczenie chorych z umiarkowaną i ciężką postacią łuszczycy plackowatej” i B.35. „Leczenie chorych z łuszczycowym zapaleniem stawów”.

W ramach Programu Lekowego B.32. finansowane są leki: infliksymab, adalimumab, ustekinumab, wedolizumab i upadacytynib.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono 1 randomizowane, otwarte, wieloośrodkowe badanie pierwotne (SEQUENCE) oraz 3 randomizowane, podwójnie zaślepienie, wieloośrodkowe badania pierwotne (ADVANCE, MOTIVATE, FORTIFY). Dodatkowo do analizy włączono 10 badań rzeczywistej praktyki klinicznej oraz 14 opracowań wtórnych.

W badaniu RCT SEQUENCE uzyskano istotną statystycznie przewagę RIS nad ustekinumabem w zakresie uzyskania remisji klinicznej (np. w 48 tygodniu 60,8% vs 40,8%) i endoskopowej (45,1% vs 21,9%). W grupie RIS odnotowano większą poprawę jakości życia niż w grupie kontrolnej. Różnica w działaniach niepożądanych między grupami była istotnie statystycznie na korzyść RIS.

W porównaniu z placebo (RCT ADVANCE, MOTIVATE, FORTIFY) w 12. tygodniu leczenia wykazano znamienne statystycznie przewagę RIS w zakresie występowania odpowiedzi endoskopowej, wygojenia błony śluzowej i remisji endoskopowej. AEs prowadzące do przerwania leczenia oraz ciężkich AEs występowały istotnie statystycznie rzadziej w grupie otrzymującej RIS.

Potwierdzono długookresową skuteczność w badaniu trwającym 152 tygodnie (FORTIFY OLE, SEQUENCE).

Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących skuteczność i bezpieczeństwo RIS z adalimumabem, wedolizumabem oraz upadacytynibem w populacji docelowej.

Odnaleziono 10 badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo RIS w leczeniu ChLC w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej, w których w okresie leczenia indukcyjnego dla populacji ogólnej raportowano: remisję kliniczną u ok. 43-83% chorych; remisję kliniczną bez konieczności stosowania kortykosteroidów u ok. 38-67% chorych; remisję endoskopową u ok. 29% chorych; odpowiedź kliniczną u ok. 62-92% chorych. W czasie leczenia podtrzymującego (wyniki dla 36-56 tyg.) dla populacji ogólnej raportowano podobną skuteczność. AEs notowano ogółem u ok. 6-29%, a AEs prowadzące do przerwania leczenia u ok. 1,3 - 3,4% chorych.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono 3 wytyczne kliniczne, dwie amerykańskie (AGA, ACG) i jedną europejską (ECCO) - ryzankizumab jest zalecaną terapią w leczeniu indukcyjnym oraz podtrzymującym chorych na ChLC o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego. Jednak opinie na temat jakości dowodów klinicznych są różne.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie ocenianej interwencji RIS w miejsce komparatorów jest droższe i skuteczniejsze dla dwóch analizowanych populacji [redacted] bez RSS. W populacji po niepowodzeniu leczenia konwencjonalnego oszacowany ICUR dla porównania RIS z komparatorami wyniósł 1,3-7,7 mln/QALY bez RSS oraz [redacted]. W populacji po niepowodzeniu leczenia biologicznego wartości te były wyższe. Wartości te znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, populacja docelowa leczona wnioskowaną technologią wyniesie [redacted] pacjentów w pierwszym oraz [redacted] pacjentów w drugim roku refundacji.

Całkowite wydatki budżetu NFZ w wariancie prawdopodobnym w I roku analizy wyniosą [redacted] (z RSS) oraz 22 090 204 zł (bez RSS), z kolei w II roku [redacted] (z RSS) oraz 45 095 140 zł (bez RSS).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono siedem rekomendacji pozytywnych dla Skyrizi w omawianym wskazaniu (HAS 2024, SMC 2023, NCPE 2023, NICE 2023, CDA-AMC 2023, TLV 2023, PBAC 2022). Niemiecka G-BA wskazuje na brak/niewielką dodatkową korzyść kliniczną, lecz lek pozostaje refundowany. Francuska HAS wydała pozytywną rekomendację dla leczenia pacjentów, którzy wcześniej stosowali co najmniej jeden inhibitor TNF-alfa (adalimumab, infliksimab) oraz negatywną rekomendację dla grupy pacjentów, którzy nie byli wcześniej leczeni inhibitorami TNF-alfa.

Główne argumenty decyzji:

- *Udowodniona skuteczność kliniczna i zadowalający profil bezpieczeństwa;*
- *Rekomendacje refundacyjne w innych krajach;*
- *Europejskie wytyczne kliniczne zdecydowanie zalecają wnioskowaną terapię u pacjentów z umiarkowaną do ciężkiej postaci choroby;*
- *Brak efektywności kosztowej.*

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.4131.1.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Skyrizi (ryzankizumab) w ramach programu lekowego: B. 32. »Leczenie pacjentów z chorobą Leśniowskiego – Crohna (ICD-10: K50)«”; data ukończenia 17 marca 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 (AbbVie Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AbbVie 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: (AbbVie Sp. z o.o.).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 40/2026 z dnia 30 marca 2026 roku
w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Alhemo (koncizumab)
do programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia
Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne
na lata 2024-2028

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wprowadzenie produktu leczniczego:

- Alhemo (koncizumab), 15 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 60 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 150 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 300 mg/3 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu,

do modułu programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: profilaktyka krwawień u pacjentów od 12 r.ż. z hemofilią A lub B z obecnością inhibitora.

Jednocześnie, Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie produktu leczniczego:

- Alhemo (koncizumab), 15 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 60 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 150 mg/1,5 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu;
- Alhemo (koncizumab), 300 mg/3 ml roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu,

do modułu programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: profilaktyka krwawień u pacjentów od 12 r.ż. z hemofilią B

z obecnością inhibitora, pod warunkiem dokładnego sprecyzowania kryteriów kwalifikacji do programu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Alhemo (koniczumab), we wskazaniu: hemofilia A lub B powikłana inhibitorem w ramach modułu programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Nie zaproponowano RSS.

Hemofilia A i B powikłane inhibitorem (HAWI/HBWI) to ciężkie wrodzone skazy krwotoczne, w których organizm wytwarza przeciwciała neutralizujące podawane czynniki krzepnięcia, co znacząco utrudnia leczenie krwawień. Inhibitory rozwijają się u ok. 20-30% pacjentów z ciężką hemofilią A oraz rzadziej u chorych na hemofilię B, ale ich obecność wymaga bardziej złożonej terapii. Hemofilia A występuje częściej niż hemofilia B, która stanowi ok. 20% przypadków hemofilii, a obie choroby wynikają odpowiednio z niedoboru czynnika VIII lub IX. Obecność inhibitora powoduje nieskuteczność standardowej substytucji czynnikiem i wymaga stosowania leków omijających inhibitor (m.in. rFVIIa, aPCC) lub innych terapii takich jak emicizumab.

Hemofilia dotyczy ok. 1 na 10 tys. urodzeń, a globalnie żyje z nią ok. 400 tys. osób. Profilaktyka krwawień pozostaje podstawą opieki i zgodnie z wytycznymi polega na regularnym podawaniu koncentratów czynników lub terapii nie-zastępczych, co zmniejsza roczną liczbę krwawień oraz zapobiega artropatii. W hemofilii B rozwój inhibitora jest rzadszy, lecz jego wystąpienie wiąże się z większym ryzykiem reakcji alergicznych i trudnościami w prowadzeniu terapii.

Technologiami alternatywnymi dla koniczumabu (CON) w HAWI jest emicizumab (EMI) i koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC), natomiast w HBWI - aPCC.

Dowody naukowe

Badanie Explorer7 (otwarty charakter RCT, CON vs brak profilaktyki) wykazało, że CON istotnie redukuje liczbę krwawień u pacjentów z HAWI/HBWI ≥ 12 r.ż. Stosowanie profilaktyki CON zarówno w populacji HAWI, jak i HBWI wiązało się z istotną statystycznie redukcją ABR (o ok. 86%) w przypadku leczonych krwawień spontanicznych i pourazowych (wskaźnik ABR= 0,14; 95%CI: 0,07; 0,29; $p < 0,01$). Zbliżone wyniki zaobserwowano, gdy podtypy hemofilii analizowano oddzielnie (HAWI i HBWI), jednak badanie nie miało mocy statystycznej pozwalającej wykazać wyższość w zależności od podtypu hemofilii B (zbyt mała liczebność próby).

Wyniki fazy przedłużonej RCT Explorer7 wskazują, że szacowana ABR w przypadku krwawień wymagających leczenia utrzymuje się na niskim poziomie w dłuższym okresie obserwacji, a jego średnia waha się od 1,1 do 2,3 w 56 tyg. obserwacji (w zależności od rodzaju krwawienia).

Prawdopodobieństwo braku krwawień wymagających leczenia ogółem było istotnie statystycznie wyższe w grupie CON vs brak profilaktyki (OR=23,4; 95%CI: 2,6; 208,8). Należy jednak zwrócić uwagę na szeroki przedział ufności, który mógł być spowodowany małą liczebnością próby badawczej.

Dla porównania pośredniego CON vs EMI w populacji HAwl przedstawiono wyniki opracowane metodą Buchera w oparciu o badania Explorer7 oraz HAVEN-1. W przypadku porównania pośredniego CON vs aPCC przedstawiono wyniki opracowane metodą Buchera w oparciu o badania Explorer7 oraz FEIBA-NF. Ze względu na zbyt niską liczebność pacjentów z HBwl, odstąpiono od wykonania analizy pośredniej dla tego podtypu choroby.

Brak istotnych różnic między CON a EMI w populacji HAwl, w żadnym z analizowanych punktów końcowych dot. krwawień. W przypadku porównania CON vs aPCC w populacji HAwl stosowanie CON wiązało się z istotnie większą redukcją zarówno leczonych krwawień ogółem (RR=0,32; 95%CI: 0,10; 0,99), jak i krwawień spontanicznych (RR=0,20; 95%CI: 0,07; 0,61).

Wyniki opracowań wtórnych (Pasca 2022, Olasupo 2024, Siddiqui 2025) wskazują, że CON uznaje się za skuteczny i bezpieczny, chociaż dowody w nich uwzględnione mają niską pewność, a autorzy podkreślają konieczność dalszych badań i monitorowania długoterminowego. Wszystkie przeglądy potwierdzają redukcję krwawień i akceptowalny profil bezpieczeństwa, ale wskazują również na ograniczenia metodologiczne i potrzebę dalszej weryfikacji.

Wg badania Explorer 7 profil bezpieczeństwa CON jest akceptowalny, z przewidywalnymi zdarzeniami niepożądanymi (AEs) i rzadkimi incydentami zakrzepowymi po zmianie protokołu badania. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic między CON a brakiem profilaktyki dla AEs, ciężkich AEs oraz AEs prowadzących do przerwania terapii oraz zgonu.

Wyniki badań pośrednich wskazują na brak istotnych różnic między analizowanymi technologiami, zarówno w zakresie ciężkich zdarzeń niepożądanych (SAEs) ogółem, AEs prowadzących do przerwania leczenia, zgonu, jak również AEs szczególnego zainteresowania. W kontekście AEs występujących u $\geq 5\%$ pacjentów (tj. ból stawów czy infekcja górnych dróg oddechowych) również nie odnotowano istotnych różnic, dane te były tylko dostępne dla porównania CON z EMI.

Jakość dowodów obarczona jest istotnymi ograniczeniami: otwarty charakter RCT, niewielka próba oraz przerwa w leczeniu w badaniu z powodu zdarzeń zakrzepowych; brak RWE/RWD, heterogeniczność badań w ramach porównań pośrednich i brak adekwatnych bezpośrednich RCT z uwzględnieniem

komparatorów (brak możliwości porównań CON vs aPCC w HBwl z powodu bardzo małej liczby pacjentów). Wyniki wymagają dalszej weryfikacji w dłuższej obserwacji.

Wytyczne kliniczne wskazują na możliwość zastosowania terapii w omawianej chorobie. CON jest uwzględniony w najnowszych wytycznych (NHC 2025, MASAC 2025), głównie w kontekście HBwl. W HAwl pozostaje opcją „drugiego wyboru”, za emicizumabem. Wytyczne amerykańskie (MASAC) dopuszczają stosowanie CON znacznie szerzej, obejmując także pacjentów bez inhibitorów ≥ 12 r.ż. Wytyczne europejskie i polskie bardziej konserwatywne – skupione na ITI i EMI.

Problem ekonomiczny

Refundacja CON w grupie pacjentów z HAwl będzie wiązała się z dodatkowymi wydatkami dla płatnika publicznego.

Refundacja CON w grupie pacjentów z HBwl będzie wiązała się oszczędnościami dla płatnika publicznego.

Odnaleziono trzy rekomendacje refundacyjne odnoszące się do zastosowania CON w populacji z HAwl, tj. pozytywną duńską Medicinrådet 2025 (skierowaną do pacjentów nietolerujących EMI), negatywną francuską HAS 2025 (w populacji ≥ 12 lat z HAwl FVIII) oraz niemiecką G-Ba 2025 wykazującą brak dodatkowej korzyści klinicznej CON. W przypadku populacji z HBwl, odnalezione rekomendacje miały charakter pozytywny (HAS 2025, Medicinrådet 2025 oraz G-Ba 2025 [wskazując na znaczną korzyść kliniczną]) lub warunkowo pozytywny (szwedzkie TLV 2025, u pacjentów z niepowodzeniem ITI).

Rekomendacje pozytywne dla populacji HBwl (wyjątek: Medicinrådet 2025 dla HAwl) uzasadniono wykazaną korzyścią kliniczną CON i zaspokojeniem potrzeby medycznej w grupie pacjentów o ograniczonych możliwościach terapii. W negatywnych rekomendacjach dla HAwl wskazano na niską wiarygodność dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo CON, wysoki koszt stosowania leku oraz dostępność alternatywnych technologii lekowych.

Główne argumenty decyzji:

- Brak wykazania wyższości CON nad komparatorem w populacji HAwl w żadnym z analizowanych punktów końcowych dotyczących krwawień;
- Zaspokojenie potrzeby medycznej w grupie pacjentów o ograniczonych możliwościach terapii (HBwl);
- Dostępne pozytywne wytyczne kliniczne oraz rekomendacje refundacyjne stosowania leku we wskazaniu HBwl;
- W populacji HBwl oszczędności dla płatnika publicznego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAP.422.2.2.2025 „Ocena zasadności włączenia produktu leczniczego Alhemo (koncizumab) do modułu programu polityki zdrowotnej »Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028«”; data ukończenia: 17.03.2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 41/2026 z dnia 30 marca 2026 roku
o projekcie programu „REGIONALNY PROGRAM POLITYKI
ZDROWOTNEJ – Zdrowe starzenie się – rehabilitacja
i leczenie uzdrowiskowe dla mieszkańców
Gminy Kamień Pomorski (2025–2029)”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „REGIONALNY PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ – Zdrowe starzenie się – rehabilitacja i leczenie uzdrowiskowe dla mieszkańców Gminy Kamień Pomorski (2025–2029)”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Kamień Pomorski: „REGIONALNY PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ – Zdrowe starzenie się – rehabilitacja i leczenie uzdrowiskowe dla mieszkańców Gminy Kamień Pomorski”. Planowany termin wdrożenia programu i okres jego realizacji to lata 2025-2029.

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 1 800 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Kamień Pomorski (przy ewentualnym dofinansowaniu z Narodowego Funduszu Zdrowia).

Celem głównym programu jest poprawa sprawności funkcjonalnej i jakości życia mieszkańców Gminy Kamień Pomorski w wieku 50–80 lat poprzez zwiększenie dostępności do rehabilitacji i leczenia uzdrowiskowego. Projekt PPZ określa także 3 cele szczegółowe.

Program będzie skierowany do osób zameldowanych na terenie Gminy Kamień Pomorski w wieku od 50 do 80 lat z rozpoznaniem schorzenia z grupy: choroba zwyrodnieniowa kręgosłupa i stawów, następstwa urazów w obrębie narządu ruchu, posiadających skierowanie na rehabilitację lub leczenie uzdrowiskowe w warunkach ambulatoryjnych od lekarza rodzinnego lub specjalisty. Wnioskodawca zaznacza, że liczba ludności w gminie w wieku od 50 do 80 lat wynosi 5 841 osób (dane GUS wskazują na 7 454 osoby). Populację docelową oszacowano na poziomie ok. 1 250 osób. W charakterystyce populacji docelowej wskazano, że podczas całego programu 1 460 osób zostanie objętych programem (w treści PPZ istnieją nieścisłości w zakresie liczby osób, które skorzystają z programu).

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada przeprowadzenie:

- *Kwalifikacji fizjoterapeutycznej wraz z oceną stanu funkcjonalnego wg Międzynarodowej Klasyfikacji Funkcjonowania, Niepełnosprawności i Zdrowia (ICF). Podczas badania fizjoterapeuta dokona całościowej analizy stanu pacjenta w oparciu o struktury i funkcje ciała, poziom aktywności oraz czynniki środowiskowe wpływające na funkcjonowanie. Wyniki badania umożliwią dobór odpowiednich zabiegów dostosowanych do indywidualnych potrzeb i ograniczeń.*
- *Indywidualnego planu zabiegów uzdrowiskowych lub rehabilitacyjnych - cykl 10 dni × 3 zabiegi dziennie. W programie w ramach opisu interwencji wskazano następujące grupy zabiegów: kinezyterapię, fizykoterapie, balneoterapię, krioterapię, hydroterapię oraz pozostałe zabiegi (w tym: ultradźwięki i laseroterapię).*
- *Badania końcowego z oceną skuteczności leczenia funkcjonalnego. Podczas drugiej konsultacji fizjoterapeuta przeprowadzi końcową ocenę i opis stanu funkcjonalnego uczestnika po zakończeniu fizjoterapii.*
- *Działań edukacyjnych.*

W ramach PPZ zostanie przeprowadzona także akcja informacyjno-promocyjna.

Udział w programie zakończy się końcową oceną i opisem stanu funkcjonalnego uczestnika. Ponadto zostaną wskazane zalecenia co do dalszego postępowania. Wnioskodawca wskazuje, że zakończenie udziału w programie jest możliwe na każdym etapie jego realizacji. Dopuszcza się także zakończenie udziału w przypadku: przeciwwskazań zdrowotnych, niestawienia się na zabiegi przez 3 dni z rzędu bez uzasadnienia lub trwałej zmiany miejsca zamieszkania poza obszar działania programu.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarobkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym.

Eksperci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Znaczenie działań w tym zakresie zostało określone przez ekspertów jako: ratujące życie i prowadzące do pełnego wyzdrowienia, zapobiegające przedwczesnemu zgonowi oraz poprawiające jakość życia bez istotnego wpływu na jego długość. Warunki realizacji PPZ powinny być zgodne z wymogami zawartymi w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Eksperci potwierdzają także zasadność

prowadzenie działań edukacyjnych w ramach PPZ. Także w rekomendacjach wskazuje się na istotną rolę edukacji pacjenta w procesie rehabilitacji.

Cele opieki rehabilitacyjnej, które są oparte na indywidualnych potrzebach i priorytetach, muszą zostać opracowane we współpracy ze starszą osobą dorosłą żyjącą z lub zagrożoną słabością i ich partnerem/ami opiekującymi się. Plan opieki rehabilitacyjnej powinien przede wszystkim zapobiegać pogorszeniu funkcjonowania organizmu i skupiać się na promocji zdrowia. Plan opieki rehabilitacyjnej powinien być zorientowany na cel i mieć określone ramy czasowe (RCA/PGLO 2021).

Jeden z ekspertów wskazał, że w ramach PPZ w pierwszej kolejności oferowana powinna zostać pełna diagnostyka funkcjonalna, a następnie kinezyterapia oraz fizykoterapia z masażem. Natomiast wskazywane przez ekspertów zalecane zabiegi fizykoterapeutyczne obejmowały: fototerapię, sonoterapię, elektroterapię, magnetoterapię, termoterapię, krioterapię, hydroterapię i balneoterapię. Balneoterapia, obok TENS i elektroterapii, zaliczana jest do metod nefarmakologicznego leczenia choroby zwyrodnieniowej stawu kolanowego o niepewnej lub niewykazanej skuteczności. Może jednak przynosić korzyści pacjentom z wielostawową chorobą zwyrodnieniową stawów oraz chorobami współistniejącymi (EULAR 2018 B).

Należy podkreślić, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne, balneoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Świadczenia w ramach programu realizowane będą w „Uzdrowisku Kamień Pomorski” S.A. w Zakładzie Fizjoterapii „Mieszko” mieszczącym się przy ul. Wojska Polskiego 2 w Kamieniu Pomorskim. Warto zaznaczyć, że świadczenia będą zatem realizowane przez świadczeniodawcę, który posiada umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Zgodnie z informacjami z informatora NFZ na terenie gminy Kamień Pomorski umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej posiada 2 świadczeniodawców.

Uwagi Rady:

- *Wskazanie realizatora jest niezgodne z przepisami artykułu 48b ust. 1 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.*
- *Opis problemu zdrowotnego koncentruje się głównie na zabiegach borowinowych, a nie na samym problemie zdrowotnym, jakim jest niepełnosprawność.*
- *Dane pozyskane z Map Potrzeb Zdrowotnych zostały przedstawione nieprawidłowo, gdyż nie odpowiadają stanowi faktycznemu.*

- *W zakresie celów PPZ - cel główny został sformułowany nieprawidłowo, nie wskazano uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej tego celu, wszystkie cele szczegółowe zostały błędnie zaplanowane.*
- *Wszystkie mierniki nie spełniają funkcji miernika efektywności.*
- *Istnieją pewne nieścisłości co do liczby populacji docelowej, która ma zostać włączona do PPZ.*
- *Kryteria włączenia i wyłączenia są niespójne z treścią PPZ.*
- *W projekcie nie wskazano czasu trwania terapii indywidualnej, dla każdego z uczestników programu. W opisie interwencji nie wskazano specjalisty prowadzącego zajęcia edukacyjne ani czasu ich trwania, a także nie przewidziano testu wiedzy, same działania edukacyjne opisano zdawkowo.*
- *W projekcie programu odniesiono się w sposób zdawkowy do informacji nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Dodatkowo projekt PPZ nie przewiduje przeprowadzenia konkursu ofert na wybór realizatora programu, projekt PPZ wskazuje realizatora programu – konkretny podmiot leczniczy.*
- *Ewaluacja programu powinna opierać się na porównaniu stanu sprzed wprowadzenia działań w ramach programu, a stanem po jego zakończeniu, co nie zostało uwzględnione w projekcie.*
- *W projekcie nie wyszczególniono kosztów działań edukacyjnych, a także kosztów pierwszej oraz drugiej wizyty fizjoterapeutycznej. Nadto istnieją rozbieżności w zakresie kwoty kosztu całkowitego.*

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.451.7.2026 „REGIONALNY PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ – Zdrowe starzenie się – rehabilitacja i leczenie uzdrowiskowe dla mieszkańców Gminy Kamień Pomorski”; data ukończenia: marzec 2026 oraz Aneksu „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.