



DOR.001.10.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 15/2026
w dniu 13 kwietnia 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:03.

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

1. Anna Czerniecka-Kubicka
2. Katarzyna Galas
3. Maciej Karaszewski
4. Marcin Kołakowski
5. Ewa Obuchowicz
6. Tomasz Pasierski
7. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Małgorzata Bała
2. Robert Bryzek
3. Zbigniew Siudak

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 zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Profil steroidowy moczu”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Makroprolaktyna”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Inhibina B”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny szczepionki Prevenar 20, szczepionka przeciw pneumokokom polisacharydowa, skoniugowana (20-walentna, adsorbowana) we wskazaniu: profilaktyka zakażeń pneumokokowych u osób dorosłych powyżej 65. roku życia.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki

zakazeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim, lata realizacji 2026-2030".

7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program profilaktyki półpaśca oraz neuralgii popółpaścowej wśród mieszkańców Lublina w wieku 55 – 64 lata”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie zapalenia płuc związanego z nadwrażliwością na pył organiczny, sarkoidozy płucnej i zapalnych chorób reumatycznych; inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9).
9. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniu pozarejestacyjnym: choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/autozapalnej choroby reumatycznej.
10. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej karboplatyna w skojarzeniu z gemcytabiną oraz niwolumabem we wskazaniu pozarejestacyjnym: w leczeniu pierwszej linii raka urotelialnego w stadium miejscowego zaawansowania poza możliwościami miejscowego leczenia o charakterze radykalnym lub w stadium uogólnienia.
11. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej fentanylium (postać donosowa) we wskazaniu pozarejestacyjnym: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwanie działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.
12. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej desmopressinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.
13. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej carboplatinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: załącznik C.6.
 - C15 – nowotwór złośliwy przetyku.
14. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej paclitaxelum we wskazaniu pozarejestacyjnym: załącznik C.47.
 - C15 – nowotwór złośliwy przetyku
 - C21 – nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu.
15. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada jednogłośnie (7 głosów „za”) zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie świadczenia „Profil steroidowy moczu”.

Głos zabrali: Aleksandra Zasada, Anna Czerniecka-Kubicka, Marcin Kołakowski i Maciej Karaszewski.

Do posiedzenia dołączył Zbigniew Siudak, który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Aleksandra Zasada i Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Aleksandra Zasada i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji omówił główne kwestie dot. świadczenia „Makroprolaktyna”.

Głos zabrał Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Anna Czerniecka-Kubicka i Aleksandra Zasada, a przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Marcin Kołakowski, Aleksandra Zasada, Ewa Obuchowicz i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. świadczenia „Inhibina B”.

Głos zabrali: Ewa Obuchowicz, Maciej Karaszewski, Anna Czerniecka-Kubicka, Zbigniew Siudak i Aleksandra Zasada.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Aleksandra Zasada i Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli Anna Czerniecka-Kubicka i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Rada zdecydowała o zmianie kolejności omawiania tematów – jako następny omówiony zostanie punkt porządku obrad dot. programu polityki zdrowotnej województwa małopolskiego z zakresu profilaktyki zakażeń RSV.

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił kluczowe informacje o projekcie programu polityki zdrowotnej województwa małopolskiego z zakresu profilaktyki zakażeń RSV.

Do posiedzenia dołączyli Małgorzata Bała i Robert Bryzek, którzy nie zadeklarowali konfliktu interesów.

W dyskusji Rady głos zabrali: Maciej Karaszewski, Marcin Kołakowski i Katarzyna Galas, a projekt opinii Rady przygotowała Katarzyna Galas.

Maciej Karaszewski doprecyzował treść uchwały, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Rada zdecydowała o omówieniu punktu dot. szczepionki Prevenar 20 i kontynuowaniu kolejności wynikającej z przyjętego na początku posiedzenia porządku obrad.

Ad 5. Analityk Agencji omówił raport dot. szczepionki Prevenar 20.

We wstępnej dyskusji Rady głos zabrali: Tomasz Pasierski, Aleksandra Zasada, Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Małgorzata Bała i Tomasz Pasierski.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Maciej Karaszewski, Małgorzata Bała i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie „przeciw” (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji zaprezentował informacje o projekcie programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki półpaśca oraz neuralgii popółpaścowej (m. Lublin).

Głos zabrali Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski, a projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek.

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

Ad 8. Analityk Agencji przedstawił prezentację odnoszącą się do substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych dot. leczenia zapalenia płuc, sarkoidozy płucnej i zapalnych chorób reumatycznych oraz innych śródmiąższowych chorób płuc.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji zwrócił uwagę na kluczowe kwestie odnoszące się do substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniu pozarejestacyjnym dot. choroby śródmiąższowej płuc i zajęcia nerek w przebiegu choroby reumatycznej.

Projekt opinii Rady przedstawił Marcin Kołakowski.

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

Ad 10. Analityk Agencji zaprezentował dane o substancji czynnej karboplatyna w skojarzeniu z gemcytabiną oraz niwolumabem we wskazaniu pozarejestacyjnym dot. raka urotelialnego.

Projekt opinii Rady przedstawiła Ewa Obuchowicz.

Głos zabrali Maciej Karaszewski i Ewa Obuchowicz, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej fentanylum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

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

Ad 12. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii dot. substancji czynnej desmopressinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 13. Ewa Obuchowicz przedstawiła projekt opinii dot. substancji czynnej carboplatinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Maciej Karaszewski i Ewa Obuchowicz.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 12 do protokołu).

Ad 14. Ewa Obuchowicz przedstawiła projekt opinii dot. substancji czynnej paclitaxelum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Maciej Karaszewski i Ewa Obuchowicz doprecyzowali treść uchwały, po czym Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 13 do protokołu).

Ad 15. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:25.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 41/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Profil steroidowy moczu” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Profil steroidowy moczu” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Profil steroidowy moczu jest badaniem polegającym na ilościowym oznaczaniu metabolitów hormonów steroidowych wydalanych z moczem w ciągu doby, obejmujących m.in. metabolity glikokortykosteroidów, mineralokortykosteroidów, androgenów oraz ich prekursorów. Analiza przeprowadzana jest z wykorzystaniem technik chromatografii sprzężonej ze spektrometrią mas (GC-MS lub LC-MS/MS), co umożliwia jednoczesną ocenę wielu metabolitów oraz ich wzajemnych stosunków ilościowych. Uzyskany profil pozwala ocenić funkcjonowanie szlaków steroidogenezy w korze nadnerczy i może wspierać diagnostykę zaburzeń steroidogenezy oraz guzów nadnerczy.

Obecnie wnioskowane badanie nie jest ujęte w wykazie świadczeń gwarantowanych finansowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Oznaczenie profilu steroidowego w moczu (metodą GC/MS) funkcjonuje natomiast jako produkt statystyczny sprawozdawany przez Ośrodki Eksperckie Chorób Rzadkich (OECR), zgodnie z obowiązującym zarządzeniem Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne – świadczenia wysokospecjalistyczne. Badanie to może być wykonywane wyłącznie u pacjentów z podejrzeniem chorób rzadkich, w ramach pobytów diagnostycznych finansowanych produktami dedykowanymi diagnostyce chorób rzadkich.

W aktualnym wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej dostępne są inne badania wykorzystywane w diagnostyce i monitorowaniu funkcji nadnerczy, obejmujące m.in. oznaczenia stężenia w surowicy krwi stężenia androstendionu, kortyzolu, dehydroepiandrosteronu siarczanu (DHEAS), 11-dezokykortyzolu, hormonu adrenokortykotropowego (ACTH) i 17-hydroksyprogesteronu.

Przedmiotowe świadczenie było analizowane we wcześniejszych opracowaniach analitycznych AOTMiT, które dotyczyły oceny propozycji nowych świadczeń z obszaru diagnostyki i leczenia chorób układu dokrewnego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, które zostały zgłoszone przez ekspertów w toku prac nad projektem pn. „Odwrócona Piramida Świadczeń”. Podstawą ich oceny były zarówno wyniki analizy rekomendacji zawartych w wytycznych postępowania diagnostyczno-terapeutycznego oraz aktualnej dostępności świadczeń gwarantowanych w zakresie chorób układu dokrewnego, zasad ich finansowania ze środków publicznych, jak również uwarunkowań systemowych stosowanych poza granicami kraju. W odniesieniu do wnioskowanego świadczenia diagnostycznego wskazano, że badanie to jest zalecane w wytycznych praktyki klinicznej oraz finansowane ze środków publicznych w innych krajach, co stanowiło przesłankę do rozważenia pod kątem jego włączenia do wykazu świadczeń gwarantowanych AOS.

Dowody naukowe

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego nie odnaleziono żadnej publikacji odpowiadającej ocenie skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii. Włączono dwa dodatkowe badania retrospektywne: Vogg 2023, odpowiadające populacji pacjentów ze schorzeniami guza kory nadnerczy oraz Kotłowska 2017, obejmujące pacjentów z zespołem Cushinga. Celem obu badań była identyfikacja kluczowych metabolitów steroidowych umożliwiających rozpoznawanie zaburzeń oraz klasyfikację pacjentów. W diagnostyce raka kory nadnerczy, wykazano umiarkowaną wartość predykcyjną i niską dokładność ogólną. Natomiast w diagnostyce zespołu Cushinga uzyskano pełną trafność klasyfikacji pacjentów z jawną postacią choroby.

Do analizy rekomendacji i wytycznych praktyki klinicznej włączono 6 dokumentów opublikowanych w latach 2008–2024 następujących towarzystw naukowych oraz organizacji eksperckich opracowujących wytyczne praktyki klinicznej: Endocrine Society (ES 2008), European Society of Endocrinology (ESE 2018), European Society of Endocrinology/ European Network for the Study of Adrenal Tumors (ESE/ ENSAT 2023), European Society for Medical Oncology (ESMO 2020), Narodowy Instytut Onkologii (NIO 2024) i Pituitary Society (PS 2021). U pacjentów z podejrzeniem raka kory nadnerczy (ACC) zaleca się przeprowadzenie kompleksowej diagnostyki hormonalnej, obejmującej ocenę wydzielania glikokortykosteroidów, hormonów płciowych, mineralokortykosteroidów oraz prekursorów steroidowych, z wykorzystaniem profilowania steroidowego w surowicy i moczu (NIO 2024, ESE/ENSAT 2023, ESMO 2020). W diagnostyce preferowane jest wielosteroidowe profilowanie z zastosowaniem metod chromatograficznych i spektrometrii masowej (LC-MS/MS lub GC-MS), jako narzędzia zwiększającego dokładność oceny biochemicznej (NIO 2024, ESE/ENSAT 2023). Ponadto, w wybranych grupach

pacjentów, szczególnie nieleczonych operacyjnie, zaleca się dalszą obserwację kliniczną ukierunkowaną na choroby współistniejące związane z nadmiarem kortyzolu, z możliwością ponownej oceny endokrynologicznej w przypadku progresji objawów (ESE/ENSAT 2023). Z kolei w diagnostyce wstępnej choroby Cushinga zaleca się zastosowanie jednego z następujących badań: test hamowania deksametazonem (DST), oznaczenie wolnego kortyzolu w dobowej zbiorce moczu (UFC) lub późnowieczorne oznaczenie kortyzolu w ślinie (LNSC) (PS 2021, ES 2008) i w przypadku nieprawidłowych wyników badań przesiewowych wykonanie kolejnego testu diagnostycznego oraz dalszą ocenę specjalistyczną.

Problem ekonomiczny

Szacunkowa liczba pacjentów kwalifikujących się do badania w AOS, określona na podstawie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ z lat 2021–2024 oraz przy założeniu, że do populacji włącza się osoby, u których wykonano co najmniej trzy spośród następujących badań diagnostycznych: kortyzol, DHEAS, ACTH, androstendion, 17-hydroksyprogesteron, estradiol, 11-dezoksykortyzol, wynosi: ok. 2 227 pacjentów w I roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia oraz ok. 2 409 pacjentów w II roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia. Przyjęto, że u każdego pacjenta wykonywane jest 1 badanie dla ICD-10 D44.1 oraz E25, jeżeli wykonano ≥ 3 z ww. badań, oraz 2 badania dla ICD-10 C74.0, jeżeli wykonano ≥ 3 z ww. badań. Szacowane skutki finansowe wdrożenia ocenianego świadczenia na podstawie wyceny zaproponowanej przez Agencję (w oparciu o dane sprawozdawczo-rozliczeniowe) – przy cenie 479 zł za badanie wyniosą: ok. 1,13 mln zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania i ok. 1,22 mln zł w II roku obowiązywania wnioskowanego badania.

Należy zwrócić uwagę na niepewność szacunków: prognoza ma charakter statystyczny i opiera się na kontynuacji trendu z danych historycznych, nie uwzględnia możliwych zmian w systemie ochrony zdrowia, nie została zwalidowana alternatywnymi metodami oraz nie analizuje wpływu świadczenia na dalszą diagnostykę ani nie została zweryfikowana innymi metodami czy źródłami danych.

Główne argumenty decyzji:

- Dostępne są refundowane obecnie technologie, które mogą stanowić alternatywę dla ocenianej technologii, w szczególności oznaczenia: androstendionu, kortyzolu, 11-dezoksykortyzolu, estradiolu, hormonu adrenokortykotropowego – ACTH, 17- hydroksyprogesteronu oraz siarczanu dehydroepiandrosteronu, jest również możliwość realizacji badania w ramach diagnostyki chorób rzadkich;
- Brak danych klinicznych dotyczących oceny skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii;

- *Ograniczona dostępność badania na terenie kraju, ze względu na możliwość jego realizacji wyłącznie w wyspecjalizowanych laboratoriach;*
- *Długi okres oczekiwania na wynik;*
- *Trudny do oszacowania wpływ na budżet płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.4100.1.2026 „Oznaczenie profilu steroidowego w moczu”; data ukończenia: 08.04.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 42/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Makroprolaktyna” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Makroprolaktyna” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem opracowania jest ocena zasadności zakwalifikowania oznaczenia stężenia makroprolaktyny jako świadczenia gwarantowanego realizowanego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) przeznaczonego do zastosowania u pacjentów z podwyższonym stężeniem prolaktyny w surowicy krwi, bez objawów klinicznych hiperprolaktynemii. Badanie makroprolaktyny nie znajduje się obecnie w wykazie świadczeń gwarantowanych. Wnioskowane świadczenie polega na oznaczeniu stężenia makroprolaktyny z wykorzystaniem testu precipitacji z polietylenoglikolem (PEG). Badanie ma na celu uzupełnienie diagnostyki hiperprolaktynemii oraz umożliwienie właściwej interpretacji podwyższonych stężeń prolaktyny w surowicy.

Hiperprolaktynemia jest traktowana jako odchylenie laboratoryjne, które może odzwierciedlać zaburzenia czynności osi podwzgórze–przysadka–gonady, obecność autonomicznie wydzielających guzów przysadki lub inne stany wtórne. Gruczolaki przysadki wydzielające prolaktynę są najczęstszym typem czynnościowych guzów przysadki i występują w populacji ogólnej z częstością kilkunastu–kilkudziesięciu przypadków na 100 000 osób, częściej u kobiet w wieku rozrodczym. Szacuje się, że liczba nowych rozpoznań takich guzów wynosi około 2–5 przypadków na 100 000 osób rocznie. Podwyższone stężenie prolaktyny stwierdza się u mniej niż 1% populacji ogólnej, natomiast częściej w populacjach objawowych – u 5–14% kobiet z wtórnym brakiem miesiączki oraz u do 15–20% pacjentek zgłaszających się z powodu niepłodności.

Objawy hiperprolaktynemii wynikają głównie z działania hormonalnego prolaktyny. U kobiet obejmują zaburzenia miesiączkowania, brak owulacji, niepłodność, niekiedy mlekotok oraz obniżenie libido. U mężczyzn obserwuje się zaburzenia funkcji seksualnych, zaburzenia płodności oraz obniżenie libido.

Do objawów niespecyficycznych mogą należeć przewlekłe zmęczenie oraz obniżenie nastroju.

Postępowanie diagnostyczne opiera się na powtarzalnym oznaczeniu stężenia prolaktyny w surowicy w warunkach minimalizujących czynniki przejściowo zwiększające poziom hormonu, takich jak stres czy wysiłek. Interpretacja wyniku powinna uwzględniać zakresy referencyjne właściwe dla zastosowanej metody laboratoryjnej. W diagnostyce uwzględnia się także ocenę potencjalnych przyczyn fizjologicznych i farmakologicznych, badanie czynności tarczycy (TSH, fT4), a w przypadku utrwalonej hiperprolaktynemii – rezonans magnetyczny przysadki z kontrastem oraz ocenę funkcji gonadalnych poprzez oznaczenie gonadotropin i steroidów płciowych. W przypadku utrzymywania się podwyższonego stężenia prolaktyny uwzględnia się ocenę frakcji prolaktyny (makroprolaktyny).

Leczenie hiperprolaktynemii zależy od przyczyny zwiększonego stężenia prolaktyny. Może obejmować leczenie wtórnych zaburzeń endokrynologicznych, modyfikację farmakoterapii, terapię ukierunkowaną na normalizację stężenia prolaktyny i poprawę funkcji osi gonadalnej, a w wybranych przypadkach także leczenie chirurgiczne zmian przysadki. Radioterapia może być stosowana w sytuacjach, gdy mimo leczenia farmakologicznego i chirurgicznego utrzymuje się zwiększone stężenie prolaktyny lub obserwuje się progresję zmian przysadki.

Dowody naukowe

Odnaleziono 6 dokumentów opublikowanych w latach 2011–2025: Italian Association of Clinical Endocrinologists/ International Chapter of Clinical Endocrinology (AME/ICCE 2022), Brazilian Society of Endocrinology and Metabolism/ Brazilian Society of Clinical Pathology/ Laboratory Medicine (SBEM/SBCP/ ML 2025), Endocrine Society (ES 2011), Pituitary Society (PS 2024) oraz Sociedad Española de Endocrinología y Nutrición/ Spanish Society of Endocrinology and Nutrition (SEEN 2022 i 2012).

Makroprolaktynemia jest zwykle stanem łagodnym, związanym z niską bioaktywnością hormonu i często przebiega bezobjawowo; u osób bezobjawowych nie zaleca się wykonywania rutynowych badań dodatkowych ani wdrażania leczenia czy monitorowania (SBEM/SBPC/ML 2025, AME 2022 i SEEN 2012).

Dalsza analiza wykazała, że oznaczanie makroprolaktyny jest zalecane przede wszystkim u pacjentów z hiperprolaktynemią bezobjawową, o nietypowym lub niejednoznacznym obrazie klinicznym. Diagnostyka powinna przebiegać etapowo: od oznaczenia prolaktyny, poprzez potwierdzenie wyniku w kolejnej próbie pobranej w standardowych warunkach pobrania, aż do ewentualnego oznaczenia makroprolaktyny.

W ramach przeglądu rozwiązań międzynarodowych dotyczących organizacji i finansowania badania stężenia makroprolaktyny w surowicy krwi przeanalizowano łącznie 6 państw: Chorwację, Danię, Finlandię, Norwegię, Wielką Brytanię oraz Włochy. Analiza rozwiązań organizacyjnych w państwach objętych przeglądem wykazała, że: w Danii, Norwegii i Wielkiej Brytanii oznaczenie makroprolaktyny wykonywane jest jako element diagnostyki laboratoryjnej w przypadku podwyższonego stężenia prolaktyny i nie funkcjonuje jako odrębne świadczenie ambulatoryjne. W Chorwacji i we Włoszech badanie posiada odrębny kod i wycenę w wykazach badań laboratoryjnych finansowanych ze środków publicznych, a w Finlandii badanie ma własny kod w katalogu badań laboratoryjnych, jednak w publicznym systemie ochrony zdrowia wykonywane jest w ramach diagnostyki hiperprolaktynemii (w sektorze prywatnym możliwy jest częściowy zwrot kosztu badania). W analizowanych państwach oznaczenie makroprolaktyny jest zazwyczaj wykonywane jako element diagnostyki laboratoryjnej hiperprolaktynemii, a w części krajów posiada odrębny kod lub wycenę w wykazach badań laboratoryjnych.

W ramach przeglądu systematycznego przeprowadzono wyszukiwanie dowodów naukowych dotyczących skuteczności oraz bezpieczeństwa oznaczenia stężenia makroprolaktyny. W wyniku tego wyszukiwania odnaleziono jedno retrospektywne badanie Hauache 2002, którego celem było określenie różnic w przebiegu klinicznym i wynikach badań obrazowych (MRI/CT) u pacjentów, którzy mają hiperprolaktynemię związaną z makroprolaktyną, a klasyczną hiperprolaktynemię monomeryczną. W analizowanym badaniu wykazano, że u ok. 79% pacjentów z makroprolaktynemią wyniki obrazowania MRI/CT były prawidłowe, podczas gdy w grupie z monomeryczną hiperprolaktynemią prawidłowy obraz uzyskano jedynie u 25% badanych. Zmiany patologiczne stwierdzono odpowiednio u 21,1% pacjentów z makroprolaktynemią oraz u 75% osób z hiperprolaktynemią monomeryczną. Dodatkowo, średnie i mediany stężenia prolaktyny, wynoszące odpowiednio 97,9 $\mu\text{g/L}$ i 61 $\mu\text{g/L}$ w grupie z hiperprolaktynemią oraz 79,9 $\mu\text{g/L}$ i 62 $\mu\text{g/L}$ w grupie z makroprolaktynemią były zbliżone.

Problem ekonomiczny

W celu odnalezienia analiz ekonomicznych dotyczących oznaczania makroprolaktyny w surowicy krwi przeprowadzono systematyczny przegląd literatury naukowej w wyniku, którego zidentyfikowano jedno badanie retrospektywne – Soárez 2009. Celem badania było określenie, czy wczesne rozpoznanie makroprolaktynemii wiąże się z niższymi kosztami w systemie opieki zdrowotnej oraz ograniczenie dalszej diagnostyki.

Według wyników publikacji w grupie hiperprolaktynemii wykonywano średnio więcej badań niż w grupie makroprolaktynemii (3,07 vs 2,51 badania na osobę; $p=0,001$), co wiązało się z wyższymi kosztami diagnostyki. Koszty farmakoterapii

były również wyższe w grupie hiperprolaktynemii (164 BRL; 111 PLN) w porównaniu z grupą makroprolaktynemii (54 BRL; 37 PLN), mimo stosunkowo rzadkiego stosowania agonistów dopaminy.

Całkowity koszt opieki per capita w grupie makroprolaktynemii wynosił około 945 BRL (643 PLN) i był o około 20% niższy niż w grupie hiperprolaktynemii (1 181 BRL; 803 PLN), a różnica ta była istotna statystycznie ($p < 0,001$).

Analiza danych sprawozdawczo-rozliczeniowych Narodowego Funduszu Zdrowia z lat 2021–2024 wykazała, że: liczba pacjentów z hiperprolaktynemią wzrosła o ok. 40% (z 8, 2 tys. do 11,5 tys.), a odsetek pacjentów, u których wykonywano badanie prolaktyny w AOS i leczeniu szpitalnym (LSZ), był wysoki (81–99%), a liczebność tej populacji zwiększyła się z 7,3 tys. do 11,4 tys. Średnia liczba badań prolaktyny przypadających na jednego pacjenta objętego diagnostyką wynosiła ok. 2 rocznie.

Szacunkowa liczba pacjentów kwalifikujących się do badania, określona na podstawie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ z lat 2021–2024 oraz przy założeniu, że do populacji włącza się osoby, u których wykonano co najmniej jedno oznaczenie stężenia prolaktyny), wynosi:

- ok. 15 740 pacjentów w I roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia;
- ok. 17 118 pacjentów w II roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia.

Przyjęto, że u każdego pacjenta wykonywane będzie jedno oznaczenie ciągu roku. Szacowane skutki finansowe wdrożenia ocenianego świadczenia na podstawie wyceny zaproponowanej przez Agencję (w oparciu o dane sprawozdawczo-rozliczeniowe) – przy cenie 113 zł za badanie wyniosą:

- ok. 1,78 mln zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania;
- ok. 1,93 mln zł w II roku obowiązywania wnioskowanego badania.

Należy mieć na uwadze niepewność szacunków, ponieważ prognoza ma charakter statystyczny i opiera się na kontynuacji trendu z danych historycznych, nie uwzględnia możliwych zmian w systemie ochrony zdrowia, nie została zwalidowana alternatywnymi metodami oraz nie analizuje wpływu świadczenia na dalszą diagnostykę ani nie została zweryfikowana innymi metodami czy źródłami danych.

Główne argumenty decyzji:

- Ograniczenie nieuzasadnionej farmakoterapii;
- Możliwa zmniejszona liczba skierowań na rezonans magnetyczny przysadki;
- Badanie jest zalecane w wytycznych praktyki klinicznej, głównie u pacjentów z bezobjawową lub nietypową hiperprolaktynemią;
- Świadczenie finansowane ze środków publicznych w innych krajach.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.4100.1.2026 „Oznaczenie stężenia makroprolaktyny”; data ukończenia: 08.04.2026 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 43/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Inhibina B” jako świadczenia gwarantowanego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Inhibina B” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Badanie poziomu inhibiny B polega na laboratoryjnym oznaczeniu jej stężenia w surowicy krwi, co pozwala na pośrednią ocenę funkcji komórek Sertolego oraz aktywności spermatogenezy. Obecnie wnioskowane świadczenie nie jest finansowane ze środków publicznych. W wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej dostępne są inne badania wykorzystywane w diagnostyce zaburzeń funkcji jąder, obejmujące m.in. oznaczenia stężeń hormonów w surowicy krwi (testosteron, LH, FSH) oraz badanie nasienia (seminogram).

W diagnostyce zaburzeń funkcji jąder istotne znaczenie ma ocena markerów hormonalnych. Jednym z nich jest inhibina B. Jego interpretacja powinna jednak odbywać się łącznie z innymi parametrami hormonalnymi, w szczególności ze stężeniem FSH, a oznaczenie inhibiny B nie zastępuje standardowej analizy nasienia.

Przedmiotowe świadczenie było analizowane we wcześniejszych opracowaniach analitycznych AOTMiT, w których wskazano, że badanie inhibiny B jest zalecane w wytycznych praktyki klinicznej oraz finansowane ze środków publicznych w innych krajach, co stanowiło przesłankę do rozważenia pod kątem jego włączenia do wykazu świadczeń gwarantowanych AOS.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego przeprowadzono wyszukiwanie dowodów naukowych dotyczących skuteczności oraz bezpieczeństwa stosowania oznaczenia stężenia inhibiny B w surowicy krwi w warunkach laboratoryjnych u dorosłych mężczyzn z rozpoznaniem: niepłodność męska, inne zaburzenia czynności jąder. W wyniku wyszukiwania odnaleziono 3 publikacje, w tym:

1 przegląd systematyczny z metaanalizą Toulis 2010 oraz 2 badania obserwacyjne Kong 2021 i Wang 2019. Zgodnie z wnioskami autorów stężenie inhibiny B w surowicy nie może służyć jako samodzielny marker przetrwałej spermatogenezy u mężczyzn z NOA. Inhibina B może być skuteczniejsza w prawidłowej identyfikacji mężczyzn z NOA i bez spermatogenezy (wyższa swoistość) (Toulis 2010). Inhibina B może być dobrym biomarkerem dla lekarzy do różnicowania pacjentów z nieobstrukcyjną azoospermią od pacjentów z obstrukcyjną azoospermią. W przypadku pacjentów z azoospermią i prawidłowym poziomem inhibiny B do różnicowania różnych stanów spermatogenezy może być konieczne zastosowanie dodatkowych biomarkerów, takich jak AMH, FSH (Kong 2021). Stężenie inhibiny B w surowicy i stężenie FSH, ani ich stosunek nie są wystarczające, aby mężczyźni mogli podjąć decyzję, czy poddać się badaniu PESA/TESE w celu określenia prawidłowości spermatogenezy (Kong 2021, Wang 2019).

W ramach wyszukiwania niesystematycznego, odnaleziono 2 badania obserwacyjne: Deng 2023, Zhu 2019. Wyniki publikacji Deng 2023, której celem było poszukiwanie klinicznie wiarygodnych markerów hormonów rozrodczych w surowicy, pozwalających przewidzieć wynik pobrania plemników u mężczyzn z idiopatycznym NOA poddawanych mikro-TESE, wskazują, iż czułość inhibiny B w stosunku do AMH w wykrywaniu dodatniego wyniku pobrania plemników wynosi 86,3%, a swoistość – 53,8%. Wyniki publikacji Zhu 2019, w której określono dokładność diagnostyczną stężenia inhibiny B w surowicy jako predyktora wyniku pobrania plemników u mężczyzn z azoospermią nieobturacyjną, wskazują, iż czułość wynosi 77,93%, a swoistość – 91,58%. Dodatkowo, porównano skuteczność diagnostyczną inhibiny B i FSH. Czuość inhibiny B a FSH w przewidywaniu wyniku pobrania plemników wyniosła 60%, a swoistość 80,28%. Badania wykazały, że stężenie inhibiny B w surowicy ma wartość predykcyjną dla wyników pobierania plemników u pacjentów z idiopatycznym NOA poddawanych mikro-TESE, jednakże połączenie inhibiny B i AMH wydaje się lepszym predyktorem (Deng 2023). Dodatkowo wskazano, iż inhibina B jako skuteczny marker spermatogenezy był istotnym predyktorem wyników pobrania plemników u mężczyzn z azoospermią nieobturacyjną (Zhu 2019).

Do analizy rekomendacji i wytycznych praktyki klinicznej włączono łącznie 4 dokumenty opublikowane w latach 2015–2025, następujących towarzystw naukowców: American Urological Association (AUA 2025), European Association of Urology (EAU 2025), European Society of Endocrinology (ESE 2015), Polskie Towarzystwo Medycyny Rozrodu i Embriologii / Polskie Towarzystwo Ginekologów i Położników (PTMRiE/PTGiP 2025). Analiza wykazała, że oznaczenie stężenia inhibiny może mieć pomocnicze znaczenie w diagnostyce niepłodności męskiej (PTMRiE/PTGiP 2025). Jednak w wytycznych nie wskazuje

się na zasadność rutynowego oznaczania stężenia inhibiny B u dorosłych, ponieważ nie wykazano jego przewagi diagnostycznej nad oznaczeniem stężenia FSH (EAU 2025). W wybranych sytuacjach klinicznych, np. w diagnostyce wrodzonego braku jader, oznaczenie stężenia inhibiny B może stanowić element pogłębionej diagnostyki hormonalnej, wykonywanej łącznie z oznaczeniem AMH/MIS, FSH, LH i testosteronu (AUA 2025).

Problem ekonomiczny

Szacunkowa liczba pacjentów kwalifikujących się do badania, określona na podstawie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ z lat 2021–2024 oraz przy założeniu, że do populacji włącza się osoby, u których wykonano co najmniej jedno z wybranych badań diagnostycznych (oznaczenie testosteronu, FSH, badanie mikroskopowe materiału biologicznego lub seminogram), wynosi ok. 2 079 pacjentów w I roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia oraz ok. 2 242 pacjentów w II roku wprowadzenia wnioskowanego świadczenia. Przyjęto, że u każdego pacjenta wykonywane jest jedno badanie inhibiny B w ciągu roku. Szacowane skutki finansowe wdrożenia ocenianego świadczenia na podstawie wyceny zaproponowanej przez Agencję (w oparciu o dane sprawozdawczo-rozliczeniowe) – przy cenie 166 zł za badanie wyniosą ok. 345 tys. zł w I roku obowiązywania wnioskowanego badania i ok. 372 tys. zł w II roku obowiązywania wnioskowanego badania.

Prognoza ma charakter statyczny, nie uwzględnia możliwych zmian w systemie ochrony zdrowia i opiera się na uproszczonym doborze populacji; dodatkowo nie analizuje wpływu świadczenia na dalszą diagnostykę ani nie została zweryfikowana innymi metodami czy źródłami danych.

Główne argumenty decyzji:

- Badanie o znaczeniu pomocniczym w diagnostyce niepłodności u mężczyzn;
- Akceptowalne obciążenie płatnika publicznego;
- Istotny problem społeczny.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: DWSGiZS.4100.1.2026 „Oznaczenie stężenia inhibiny B”; data ukończenia: 08.04.2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 61/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej (PPZ) w zakresie profilaktyki RSV.

Syncytialny wirus oddechowy (RSV lub RS) jest ortopneumowirusem z rodziny Pneumoviridae. Nazwa pochodzi od specyficznego namnażania się wirusa w komórkach układu oddechowego. Zakażone sąsiednie komórki zlewają się w duże struktury tzw. syncytia. Wirusy z tej grupy wywołują zakażenia układu oddechowego u człowieka. Zakażenia RSV mają charakter sezonowy. W Polsce i w innych krajach klimatu umiarkowanego sezon zakażeń trwa zwykle od jesieni do wiosny. Do zakażenia dochodzi głównie drogą kropelkową (przez kaszel, kichanie). U niemowląt zakażenie RSV jest jedną z głównych przyczyn hospitalizacji. Zakażenie jest szczególnie groźne w przypadku wcześniaków, u których układ oddechowy nie jest jeszcze całkowicie wykształcony. Powoduje u nich zmiany zapalne w płucach, które mogą uszkadzać rzęski w nabłonku dróg oddechowych (odpowiedzialne za usuwanie śluzu). Jeśli dojdzie do ich uszkodzenia, upośledzona zostaje drożność oskrzelików. Ostra faza choroby przebiegająca z zapaleniem oskrzelików uważana jest za wczesne powikłanie zakażenia RSV. Śmiertelność w zapaleniu oskrzelików u dzieci leczonych szpitalnie wynosi około 1%.

Program został zaplanowany do realizacji przez Województwo Małopolskie i jest skierowany do dzieci w wieku do lat 2 zamieszkałych na terenie województwa małopolskiego. W PPZ założono dwa warianty. W ramach wariantu I program dedykowany będzie dzieciom, które przebywają w: (i) placówkach sprawujących całodobową opiekę nad dziećmi pozbawionymi opieki rodzicielskiej tj.: placówkach opiekuńczo-wychowawczych (z wyjątkiem placówek typu interwencyjnego), (ii) rodzinnych domach dziecka, (iii) żłobkach i klubach

dziecięcych. W ramach wariantu II program skierowany będzie do dzieci innych niż te wymienione w wariancie I (z zastrzeżeniem, że w wariancie tym dopuszczone zostanie również szczepienie dzieci w żłobkach, klubach dziecięcych w przypadku realizacji przez Województwo Małopolskie wariantu I PPZ, jeżeli dziecko nie może skorzystać ze świadczenia w ramach wariantu I).

Biorąc pod uwagę przedstawione powyżej warianty, wnioskodawca wskazuje, że w zależności od wariantu, immunizacja bierna niemowląt w wieku do 2 lat przeciw RSV obejmie ok. 60 dzieci rocznie (zakładając wariant 1) lub ok. 150 dzieci rocznie (zakładając wariant 2). W PPZ nie uzasadniono wyboru szczególnych grup docelowych wśród dzieci w wieku do 2 r.ż., a także nie doprecyzowano w jakich sytuacjach dzieci z tej grupy nie mogłyby skorzystać z wariantu 1 i w rezultacie miałyby wziąć udział w realizowanym jednocześnie wariancie 2.

W ramach programu zaplanowano: lekarskie badanie kwalifikujące, jednokrotne uodpornienie bierne przeciw RSV przeciwciałem monoklonalnym oraz edukację rodziców/opiekunów prawnych dzieci biorących udział w programie.

PPZ jest planowany do realizacji w latach 2026-2030, a jego koszty zostały oszacowane łącznie na 3 072 550 zł. Program ma być finansowany z budżetu Województwa Małopolskiego (wariant I) lub Województwa Małopolskiego w wymiarze ok. 50% oraz powiatów współpracujących z gminami ok. 50% (wariant II). W programie nie zostały jednak wskazane przesłanki przesądzające o finalnym wyborze danego wariantu.

Kwalifikacji do programu dokonywać będzie lekarz, a kryteriami włączenia będą: dzieci w wieku do lat 2, dzieci bez przeciwwskazań lekarskich, dzieci zamieszkałe w województwie małopolskim oraz dzieci niepodlegające szczepieniom przeciw RSV ze środków publicznych. Zaznaczono, że warunkiem uczestnictwa w programie będzie wyrażenie pisemnej zgody przez rodziców/opiekunów prawnych uczestnika programu na udział w programie oraz spełnianie wszystkich kryteriów określonych dla populacji docelowej, poprzez złożenie stosownych oświadczeń przygotowanych przez podmiot leczniczy/podmioty lecznicze – realizatora programu/realizatorów programu wybranego/wybranych w drodze konkursu ofert.

Kryteria wyłączenia z PPZ stanowią „indywidualne przeciwwskazania lekarskie do szczepienia lub niespełnianie któregośkolwiek z kryteriów włączenia do programu np.: brak zamieszkania na terenie województwa małopolskiego, wiek dziecka, przeciwwskazania do zaszczepienia określone w Charakterystyce produktu leczniczego, udział w programie Profilaktyka zakażeń wirusem RS finansowanym ze środków publicznych, możliwość korzystania ze szczepień finansowanych ze środków publicznych w przypadku wprowadzenia w okresie trwania programu nowych regulacji prawnych np. uprawnienia dla określonych grup osób, itp.”.

W wytycznych towarzystw naukowych wskazuje się na dwie metody profilaktyki biernej zakażeń RSV w populacji niemowląt:

- *szczepienia kobiet w ciąży (RSVpreF) – zalecane w III trymestrze ciąży oraz*
- *stosowanie przeciwciał monoklonalnych specyficznych dla RSV u niemowląt (AG DHDA 2026, UK HSA 2026, AAP 2025, ACIP 2025, ACOG 2025, CDC 2025, PTW 2025, WHO 2025, CPS 2024, NACI 2024, PTP 2024, ACIP 2023).*

Standardowo zalecane jest stosowanie u danego dziecka tylko jednej z powyższych metod, z następującymi wyjątkami:

- *narodziny dziecka poniżej 14 dni od podania szczepionki matce w trakcie ciąży (AG DHDA 2026, CDC 2025, PTW 2025, CPS 2024, NACI 2024, ACIP 2023);*
- *niedostateczna odpowiedź immunologiczna na szczepienie w okresie ciąży (np. niedobór odporności u matki – także zakażenie HIV oraz immunosupresja jatrogena) (AG DHDA 2026, AAP 2025, CDC 2025, PTW 2025, ACIP 2023);*
- *dzieci po zabiegach w krążeniu pozaustrojowym (ze względu na możliwą utratę przeciwciał nabytych od matki drogą transportu przezłożyskowego) (AG DHDA 2026, AAP 2025, CDC 2025, PTW 2025, ACIP 2023);*
- *dzieci z grupy znacznie zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu klinicznego zakażenia RSV (AG DHDA 2026, UK HSA 2026, AAP 2025, CDC 2025, PTW 2025, CPS 2024, NACI 2024, ACIP 2023);*
- *narodziny dziecka w okresie od marca do sierpnia (pomimo zaszczepienia matki w trakcie ciąży) (PTW 2025).*

Podstawowym preparatem zawierającym długodziałające przeciwciała monoklonalne specyficzne dla RSV stosowanym w profilaktyce biernej zakażeń RSV u niemowląt i małych dzieci jest nirsewimab (AG DHDA 2026, UK HSA 2026, AAP 2025, ARMADA Taskforce 2025, CDC 2025, KPS 2025, PTW 2025, WHO 2025, PTP 2024, ACIP 2023).

Zgodnie z wytycznymi, nirsewimab powinien być stosowany u dzieci, których matki:

- *nie otrzymały szczepionki RSVpreF w trakcie ciąży (lub status szczepienia nie jest znany) (AG DHDA 2026, AAP 2025, CDC 2025, PTW 2025, WHO 2025, ACIP 2023);*
- *otrzymały szczepionkę RSVpreF w trakcie ciąży, ale poród nastąpił w ciągu <14 dni od daty szczepienia (AG DHDA 2026, AAP 2025, CDC 2025, PTW 2025, WHO 2025, ACIP 2023);*
- *otrzymały szczepionkę RSVpreF, ale w poprzedniej ciąży (PTW 2025);*

- otrzymały szczepionkę RSVpreF w trakcie ciąży, ale poród nastąpił w okresie od marca do sierpnia (PTW 2025).

W Programie Szczepień Ochronnych na 2026 r. szczepienie przeciw zakażeniom RSV (uodpornienie bierne) jest zalecane noworodkom, niemowlętom, dzieciom do 2 lat przez zastosowanie przeciwciał monoklonalnych w zapobieganiu chorobie dolnych dróg oddechowych.

Polskie Towarzystwo Wakcynologii (PTW 2025) zaleca uodparnianie:

- wszystkich niemowląt urodzonych w sezonie lub rozpoczynających swój pierwszy sezon zakażeń RSV, traktując priorytetowo dzieci z grupy dużego ryzyka choroby wywołanej przez RSV i niemowlęta <6. m.ż. (z wyjątkami wskazanymi wcześniej),
- dzieci z grup ryzyka ciężkiego przebiegu RSV w drugim sezonie RSV (niezależnie od statusu szczepienia matki lub przyjęcia nirsewimabu/paliwizumabu w pierwszym sezonie),
- dzieci do ukończenia 1. r.ż. bez czynników ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia w ich drugim sezonie zakażeń RSV, jeśli w pierwszym sezonie nie przeszły udokumentowanego (potwierzonego testem antygenowym lub metodą reakcji łańcuchowej polimerazy) zakażenia RSV, nie otrzymały profilaktyki w pierwszym sezonie lub których matki przed porodem zostały zaszczepione przeciwko RSV;

Polskie Towarzystwo Pediatryczne (PTP 2024) rekomenduje stosowanie nirsewimabu:

- u wszystkich noworodków i niemowląt poniżej 12. m.ż.
- druga dawka u niemowląt poniżej 24. m.ż., rozpoczynających drugi sezon RSV z grup zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV.

Wytyczne UK Health Security Agency z 2026 r. wskazują na zasadność stosowania nirsewimabu u niemowląt poniżej 12 m.ż., a także u dzieci poniżej 24 m.ż. z grup ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV.

Koreańskie Towarzystwo Pediatryczne (KPS 2025) zaleca natomiast podanie nirsewimabu:

- wszystkim noworodkom urodzonym w sezonie RSV (październik-marzec);
- wszystkim niemowlętom, które na początku sezonu RSV są w wieku <6 m.ż. (urodzonym między kwietniem a wrześniem danego roku);
- dzieciom <2 lat z grupy zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV, wchodzącym w drugi sezon RSV.

W wytycznych amerykańskich, kanadyjskich i australijskich towarzystw naukowych, a także w międzynarodowych wytycznych ARMADA Taskforce jako wiek populacji docelowej dla podania nirsewimabu wskazuje się:

- spełniające kryteria niemowlęta poniżej 8 m.ż. (urodzone w trakcie lub wchodzące w swój pierwszy sezon RSV) oraz
- starsze niemowlęta i małe dzieci w wieku ≥ 8 m.ż., które należą do grupy ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV (przed drugim lub kolejnym sezonem RSV, niezależnie od statusu szczepienia matki) (AG DHDA 2026, AAP 2025, ARMADA Taskforce 2025, CDC 2025, CPS 2024, NACI 2024, ACIP 2023).

przy czym górna granica wieku w grupie wiekowej powyżej 8 m.ż. definiowana jest w wytycznych amerykańskich jako 19 m.ż. (AAP 2025, CDC 2025, ACIP 2023), natomiast w wytycznych australijskich i międzynarodowych jako 24 m.ż. (AG DHDA 2026, ARMADA Taskforce 2025).

Jedynym produktem leczniczym zawierającym nirsewimab zarejestrowanym w Polsce jest aktualnie Beyfortus. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego Beyfortus jest on wskazany w zapobieganiu chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez RSV u:

- noworodków i niemowląt w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV,
- dzieci do ukończenia 24. miesiąca życia, które pozostają narażone na ciężką chorobę wywołaną przez RSV w drugim dla nich sezonie występowania zakażeń RSV.

Aktualnie szczepienia przeciwko zakażeniom RSV kobiet w ciąży zostały objęte 100% refundacją Ministerstwa Zdrowia. Ponadto realizowany jest program lekowy „Profilaktyka zakażeń wirusem RS (ICD-10: P07.2, P07.3, P27.1, P07.0, P07.1, Q20-Q24, G12.0, G12.1, E84.0)”, który dedykowany jest dla:

- pacjentów neonatologicznych,
- pacjentów z rozpoznaną mukowiscydozą do 1 r.ż.,
- pacjentów kardiologicznych do 2 r.ż.,
- pacjentów z rozpoznanym rdzeniowym zanikiem mięśni do 2 r.ż.

Program polega na podaniu maksymalnie 5 dawek krótko działającego paliwizumabu (w odstępach miesięcznych) w sezonie zakażeń RSV, trwającym od 1 września do 30 kwietnia. Immunizację paliwizumabem przeprowadza się maksymalnie w dwóch następujących po sobie sezonach immunizacji.

Główne argumenty decyzji:

- określenie populacji docelowej objętej programem nie jest adekwatne do wytycznych klinicznych (co do zasady w wytycznych klinicznych dzieci

powyżej 1 r.ż. wskazywane są jako populacja podlegająca immunizacji w przypadku, gdy należą do grupy zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV);

- *kryteria włączenia/wyłączenia nie odnoszą się do ewentualnego zaszczepienia matki w trakcie ciąży (brak zasadności podawania przeciwciał w przypadku niemowląt nienależących do grup zwiększonego ryzyka, których matki nie mają zaburzeń immunologicznych oraz otrzymały w trakcie ciąży, co najmniej 14 dni przed porodem, szczepienie przeciwko RSV);*
- *proponowana liczba dzieci zimmunizowanych w ramach programu nie wpłynie na epidemiologię zakażeń RSV.*

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.451.11.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”; data ukończenia: kwiecień 2026 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 44/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie oceny leku szczepionki Prevenar 20
(szczepionka przeciw pneumokokom polisacharydowa,
skoniugowana) we wskazaniu: profilaktyka zakażeń
pneumokokowych u osób dorosłych powyżej 65. roku życia**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Prevenar 20 (szczepionka przeciw pneumokokom polisacharydowa, skoniugowana (20-walentna, adsorbowana), zawieszina do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, ml, 1 amp. -strzyk. 0,5 ml + 1 igła, GTIN: 05415062385456, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej 255.0 Szczepionki przeciw pneumokokom i wydawanie go za odpłatnością 50% pod warunkiem pogłębienia RSS tak, aby jednostkowy rzeczywisty koszt ocenianej szczepionki dla NFZ nie był wyższy od rzeczywistego jednostkowego kosztu dla NFZ Prevenar 13 [REDACTED]

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją szczepionki Prevenar 20 we wskazaniu: profilaktyka zakażeń pneumokokowych u osób dorosłych powyżej 65. roku życia. Szczepionka Prevenar 20 pod wcześniejszą nazwą: Apexxnar, w 2023 r. była już przedmiotem oceny Agencji w tożsamym do obecnego wskazaniu. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości i Rekomendacja były negatywne. Jako uzasadnienie wskazano: brak badań wskazujących na efekty kliniczne, profil bezpieczeństwa oparty na danych dla 6-miesięcznego okresu obserwacji i brak danych długoterminowych oraz znaczący wpływ na budżet płatnika publicznego. Choroba pneumokokowa to zakażenie wywołane bakterią Streptococcus pneumoniae (pneumokokiem, dwóinką zapalenia płuc). Ciężki przebieg zakażenia dotyczy zwłaszcza dzieci w wieku do 2 lat i osób powyżej 65. roku życia. Choroba pneumokokowa może przebiegać pod wieloma postaciami, najczęściej są to ostre zapalenie ucha środkowego (OZUŚ), zapalenie zatok, zapalenie płuc. Najgroźniejsza postać kliniczna to inwazyjna choroba pneumokokowa (IChP) manifestująca się zapaleniem opon mózgowo-rdzeniowych (ZOMR) czy posocznicą. Diagnostyka chorób wywoływanych przez pneumokoki jest

trudna, a częstość występowania tych chorób jest niedoszacowana. Wg danych z Zintegrowanego Modelu Analitycznego Centrum e-Zdrowia (CeZ) w latach 2022–2025 w populacji osób powyżej 65. r.ż. liczba chorych i nowych przypadków chorób wywołanych przez pneumokoki wynosiła: w 2022 roku 1 529 chorych i 1 456 nowych przypadków, w 2023 roku 2 148 chorych i 2 035 nowych przypadków, w 2024 roku 2 649 chorych i 2 531 nowych przypadków, a w 2025 roku 2 198 chorych i 2 075 nowych przypadków.

Najskuteczniejszą formą profilaktyki choroby wywoływanej przez pneumokoki jest uodpornienie z wykorzystaniem szczepionek. Wśród szczepionek na *Streptococcus pneumoniae* w Polsce, oprócz Prevenar 20 (PCV20) obejmującej 7 z 10 najczęściej występujących w populacji 65+ serotypów, dostępne są: Prevenar 13 (PCV13) pokrywający 4 z 10 najczęstszych serotypów w tej populacji; Pneumovax 23 (PPSV23) – obejmujący 8 z 10 najczęstszych serotypów; Capvaxive (PCV21) obejmujący 7 z 10 najczęstszych serotypów oraz Vaxneuvance (PCV15) obejmujący 5 z 10 najczęstszych serotypów w populacji 65+. Obecnie jedynie PCV13 jest finansowany ze środków publicznych u osób z umiarkowanym i wysokim ryzykiem choroby pneumokokowej.

Dowody naukowe

W ramach analizy klinicznej (AKL) nie odnaleziono badań z randomizacją, przeglądów systematycznych lub metaanaliz dotyczących skuteczności klinicznej PCV20, spełniających predefiniowane kryteria włączenia, co stanowi główne ograniczenie tej analizy.

W związku z brakiem badań dotyczących skuteczności klinicznej PCV20, ocenę skuteczności wnioskowanej technologii oparto na ocenie immunogenności tej szczepionki na podstawie 2 badań z randomizacją: Essink 2022 (PCV20 vs PCV13 (oraz dodatkowo z PPSV23), pacjenci w wieku ≥ 60 lat) i Cannon 2021 (PCV20 vs PCV13 lub PPSV23 u osób ≥ 65 lat wcześniej zaszczepionych przeciw pneumokokom). Do analizy włączono także doniesienia konferencyjne opisujące obserwacyjne retrospektywne badanie kohortowe przeprowadzone w USA w rzeczywistej praktyce klinicznej (RWE), w populacji ogólnej oraz w poszczególnych grupach ryzyka (Miles 2025). W tym ostatnim badaniu okres obserwacji wynosił 2 lata i nie oceniano w nim bezpieczeństwa PCV20 co także stanowi ograniczenie analizy. Wyniki dla populacji pacjentów z niskim ryzykiem choroby pneumokokowej były dostępne jedynie w tym badaniu RWE.

W porównaniu z PCV13 dla serotypów wspólnych, PCV20 wykazał wyniki immunogenności niegorsze (ang: non-inferiority), co oznacza odpowiedź porównywalną immunologicznie. Odsetki serokonwersji po PCV20 były zbliżone do wyników PCV13. Dla siedmiu serotypów niewchodzących w skład PCV13, PCV20 wypadł korzystniej niż PPSV23 dla większości z nich. W badaniu Essink 2022 PCV20 przewyższał PPSV23 w odpowiedzi immunologicznej dla serotypów

10A, 11A, 12F, 15B, 22F i 33F, natomiast PPSV23 miała przewagę jedynie dla serotypu 8. Silniejsza była także odpowiedź PCV20 dla wielu serotypów unikalnych, szczególnie 12F, 15B i 22F. Odsetek serokonwersji był wyraźnie wyższy dla PCV20 niż PPSV23.

W analizach regulatorowych EMA z podziałem na osoby z obciążeniami zdrowotnymi i bez nich wykazano, że zarówno dla wspólnych serotypów, jak i dla serotypów unikalnych, odpowiedź immunologiczna PCV20 pozostawała stabilna i wysoka niezależnie od profilu ryzyka. Różnice między grupami z czynnikami ryzyka a grupami zdrowymi były minimalne, a PCV20 zachowywała przewagę nad PPSV23 wobec dodatkowych serotypów, także u pacjentów obciążonych.

W badaniu RWE w dwuletnim okresie obserwacji, stwierdzono, że skuteczność szczepionki PCV20 w populacji pacjentów w wieku ≥ 65 lat w zapobieganiu inwazyjnej chorobie pneumokokowej (IChP) wynosi 25,6%, natomiast w zapobieganiu Prevenar 20 (szczepionka przeciw pneumokokom) zapaleniu płuc z dowolnej przyczyny (ACP): 15,2%. Wśród pacjentów 65+ wcześniej nieszczepionych szczepionkami PCV13 i PPSV23 skuteczność PCV20 wyniosła odpowiednio: dla IChP: 25,5%, a w odniesieniu do ACP: 17,6%. Skorygowana efektywność PCV20 przeciw IChP spowodowanej dowolnym serotypem była najwyższa u pacjentów o niskim ryzyku zakażenia (33,8%), u osób z obniżoną odpornością wyniosła 25%, a u osób z chorobami przewlekłymi: 22,6%. Również w odniesieniu do ACP, najwyższą skorygowaną skuteczność PCV20 stwierdzono w grupie o niskim ryzyku zakażenia (17,3%), natomiast u pacjentów z obniżoną odpornością wyniosła ona 16,5%, a w grupie z chorobami przewlekłymi: 14,6%. Skorygowany współczynnik zapadalności (IR) na 100 tys. osobooleat zarówno dla IChP i ACP, był mniejszy wśród osób zaszczepionych PCV20, w porównaniu do grupy pacjentów niezaszczepionych PCV20, we wszystkich subpopulacjach (tj. populacji ogólnej, u pacjentów z obniżoną odpornością, pacjentów z chorobami przewlekłymi i u pacjentów z niskim ryzykiem zakażenia).

W analizie bezpieczeństwa w populacji pacjentów 60+ w sześciomiesięcznym okresie obserwacji nie stwierdzono żadnych istotnych statystycznie różnic między porównywanymi grupami, tj. PCV20 i PCV13+PPSV23. Odnotowano 1 zgon w grupie zaszczepionych PCV20, który nie był związany z leczeniem.

W analizie bezpieczeństwa w populacji pacjentów 65+ wcześniej szczepionych przeciwko pneumokokom w grupie PCV20 i kontrolnych obserwowano porównywalne częstości lub nieznaczące różnice dla zdarzeń niepożądanych, zdarzeń związanych ze szczepieniem, poważnych zdarzeń niepożądanych, a także nowych stanów chorobowych, bez konsekwentnego trendu w kierunku gorszego profilu PCV20. Jedynie wśród pacjentów wcześniej szczepionych PCV13, w grupie, która otrzymała szczepionkę PCV20 istotnie statystycznie rzadziej niż w grupie PPSV23 występowały jakiegokolwiek zdarzenia niepożądane po 1 miesiącu

po szczepieniu (odpowiednio: PCV20: 5% vs PPSV23: 11%), bóle głowy jakiegokolwiek stopnia (PCV20: 14% vs PPSV23: 21%), bóle głowy łagodne (PCV20: 10% vs PPSV23: 21%) oraz bóle mięśni jakiegokolwiek stopnia (PCV20: 34% vs PPSV23: 46%).

Wytyczne postępowania

Polski Program Szczepień Ochronnych 2026 zaleca szczepienie przeciw pneumokokom osobom dorosłym powyżej 50. roku życia (ze szczególnym uwzględnieniem osób od ukończenia 65. roku życia). „Szczepienia u osób w wieku 65 lat i starszych realizowane są w schemacie 1 dawka szczepionki skoniugowanej PCV13 oraz 1 dawka szczepionki polisacharydowej PPSV23, w odstępie przynajmniej 1. roku; alternatywnie można podać 1 dawkę szczepionki skoniugowanej PCV20”. Nie wskazano na ograniczenie tych zaleceń do populacji ze zwiększonym ryzykiem choroby pneumokokowej. Według najnowszych zaleceń polskich ekspertów (PTW 2022), szczepienia przeciw pneumokokom powinny być zalecane wszystkim osobom dorosłym powyżej 65. roku życia oraz osobom dorosłym w wieku 19–64 lat, które mają dodatkowe czynniki ryzyka. Polskie zalecenia są w tym zakresie zgodne z zaleceniami amerykańskimi.

Problem ekonomiczny

Populacja o niskim ryzyku choroby pneumokokowej

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie szczepionki Prevenar 20 w miejsce braku szczepień jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariacie z RSS dla porównania szczepionki Prevenar 20 vs brak szczepień wyniósł [redacted] zł/QALY (bez RSS: 22,24 tys. Zł/QALY). Natomiast oszacowany ICUR z perspektywy wspólnej w wariacie z RSS dla porównania szczepionki Prevenar 20 vs brak szczepień wyniósł [redacted] zł/QALY (bez RSS: 46,90 tys. Zł/QALY). Wartości te znajdują się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Populacja o umiarkowanym i wysokim ryzyku choroby pneumokokowej

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy [redacted] [redacted] w wariacie z RSS zarówno z perspektywy NFZ jak i wspólnej.

Przy wartościach ICUR przedstawionych w analizie podstawowej oszacowana przez wnioskodawcę wartości progowe ceny zbytu netto leku są wyższe od ceny wnioskowanej.

Ze względu na nieprzedstawienie badań z randomizacją wykazujących przewagę wnioskowanej technologii nad schematem szczepienia PCV13 (+/- PPSV23) w zakresie skuteczności Prevenar 20 (szczepionka przeciw pneumokokom) i/lub bezpieczeństwa, zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji.

Oszacowana w związku z zachodzeniem tych okoliczności cena zbytu netto produktu Prevenar 20, zarówno z perspektywy NFZ i wspólnej wynosi [REDAKTOWANO]. Największymi ograniczeniami AE wnioskodawcy jest pominięcie możliwości zastosowania w subpopulacji pacjentów z umiarkowanym i wysokim ryzykiem choroby pneumokokowej schematu PCV13+PPSV23, wskazanego przez wnioskodawcę jako komparator. W subpopulacji tej PCV20 porównano wyłącznie z PCV13. Ponadto, brak jest danych z długoterminowych badań dotyczących bezpośredniej skuteczności klinicznej szczepionki PCV20 w zapobieganiu inwazyjnej chorobie pneumokokowej oraz pneumokokowemu zapaleniu płuc w populacji osób starszych. W związku z tym, skuteczność ocenianej interwencji w modelu wnioskodawcy została oszacowana pośrednio na podstawie danych immunogenności oraz wyników badań dla wcześniejszych szczepionek przeciw pneumokokom. Dodatkową niepewność wprowadza ograniczona wiedza dotycząca czasu utrzymywania się ochrony poszczepiennej szczepionki Prevenar 20.

Ponadto w analizie wnioskodawcy nie uwzględniono [REDAKTOWANO]

[REDAKTOWANO]. Wyniki przeprowadzonych przez analityków AOTMiT obliczeń własnych uwzględniających [REDAKTOWANO] nie zmieniło wnioskowania z AE wnioskodawcy: szczepionka PCV20 w subpopulacji z umiarkowanym i wysokim ryzykiem choroby pneumokokowej dominowała nad PCV13.

Prognozowana przez Wnioskodawcę populacja, w której oceniana technologia będzie wykorzystana została oszacowana na [REDAKTOWANO] w I roku oraz [REDAKTOWANO] w II roku analizy. Wnioskodawca założył, że Prevenar 20 przejmie [REDAKTOWANO] udziałów szczepionki Prevenar 13 w subpopulacji z czynnikami ryzyka, a w populacji z niskim ryzykiem choroby pneumokokowej – wnioskowana technologia będzie stanowiła jedyną refundowaną opcję profilaktyczną.

W przypadku wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej, prognozowane inkrementalne oszczędności płatnika publicznego (NFZ) wyniosą [REDAKTOWANO] zł w I roku i [REDAKTOWANO] zł w II roku refundacji w wariancie z uwzględnieniem RSS oraz -4,5 mln zł w I roku i -1,3 mln zł w II roku w wariancie bez uwzględnienia RSS. Łączne wydatki z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjent) wyniosą natomiast [REDAKTOWANO] zł w I roku i [REDAKTOWANO] zł w II roku w wariancie z uwzględnieniem RSS oraz o odpowiednio +9,5 mln zł i +31,9 mln zł w I i II roku w wariancie bez uwzględnienia RSS.

Ograniczenia przedstawionych analiz obejmują nieuwzględnienie dodatkowej populacji wynikającej z sekwencyjnego schematu szczepienia PCV13+PPSV23, nieuwzględnienie rzeczywistego kosztu NFZ ponoszonego na refundację Prevenar 13 (pominięcie RSS), arbitralne założenie Wnioskodawcy o [REDAKTOWANO]

pozycji rynkowej technologii alternatywnej na poziomie udziałów rynkowych oraz ryzyko niedoszacowania populacji pacjentów z niskim ryzykiem choroby, co stanowiło podstawę do wykonania obliczeń własnych Agencji.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 2 francuskie pozytywne rekomendacje: z 2023 r. (dot. szczepionki dostępnej pod wcześniejszą nazwą: Apexnar) oraz jej aktualizację z 2025 r. (dot. PCV20: Prevenar 20). W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na wysoki wskaźnik skuteczności (immunogenności) do działań niepożądanych, brak alternatywnej szczepionki, ponieważ Prevenar 20 ma zastąpić Prevenar 13 (PCV13) i Pneumovax (PPSV23) (HAS nie zaleca już stosowania szczepionek PCV13 i PPSV23 u dorosłych), a także prawdopodobny dodatkowy wpływ szczepionki Prevenar 20 na zdrowie publiczne.

Główne argumenty decyzji:

- Postępowanie zalecane w wytycznych postępowania;
- Bezpieczeństwo porównywalne do aktualnie stosowanych szczepionek;
- Serotypy znajdujące się w Prevenar 20, w porównaniu z innymi dostępnymi szczepionkami, pokrywają 7 z 10 serotypów najczęściej wywołujących inwazyjną chorobę pneumokokową i odpowiedzialnych za zgony z powodu IChP u osób w wieku 65+.

Uwaga Rady

Ze względu na brak bezpośrednich porównawczych badań RCT dot. skuteczności w zakresie efektów klinicznych z aktualnie refundowaną szczepionką oraz brak długoterminowych badań bezpieczeństwa, jednostkowy rzeczywisty koszt ocenianej szczepionki dla NFZ nie powinien być wyższy od jednostkowego rzeczywistego kosztu Prevenar 13 dla NFZ

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.423.4.1.2025 „Wniosek o objęcie refundacją szczepionki Prevenar 20 (szczepionka przeciw pneumokokom polisacharydowa, skoniugowana (20-walentna, adsorbowana)) we wskazaniu: Profilaktyka zakażeń pneumokokowych u osób dorosłych powyżej 65. roku życia”; data ukończenia: 1 kwietnia 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.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 62/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
o projekcie programu „Program profilaktyki półpaśca oraz neuralgii popółpaścowej wśród mieszkańców Lublina w wieku 55 – 64 lata”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program profilaktyki półpaśca oraz neuralgii popółpaścowej wśród mieszkańców Lublina w wieku 55 – 64 lata”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki półpaśca i jego powikłań. Program skierowany jest do mieszkańców Miasta Lublin w wieku 55-64 lat, niezaszczepionych dotychczas przeciwko półpaścowi i niespełniających kryteriów do refundacji szczepionki.

Program ma być realizowany w latach 2026-2030.

Koszt całkowity programu oszacowano na 2 000 000 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu miasta Lublin lub „innych pozyskanych na ten cel funduszy”.

Oceniany projekt programu dotyczy problemu zdrowotnego jakim jest półpasiec. Wnioskodawca przedstawił opis problemu zdrowotnego, wskazując na definicję i klasyfikację wg ICD-10 półpaśca, jego etiologię, czynniki ryzyka, rozpoznanie i obraz kliniczny, a także powikłania.

Projekt programu zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego. Odniesiono się do danych światowych, ogólnopolskich oraz regionalnych.

Wnioskodawca w projekcie nie odniósł się do Mapy potrzeb zdrowotnych na lata 2022-2026. Niemniej nie obejmuje ona danych dotyczących przedmiotowego problemu zdrowotnego.

Głównym założeniem projektu programu jest „uzyskanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 75% poprawnych odpowiedzi) z zakresu czynników ryzyka, przebiegu oraz profilaktyki półpaśca i neuralgii popółpaścowej, wśród co najmniej 75% uczestników działań edukacyjnych”.

W projekcie zaplanowano przeprowadzenie pre i post testu wiedzy, co jest działaniem zasadnym. Do projektu załączono przykładowy test, który co do zasady odzwierciedla zakres zaplanowanych działań edukacyjnych.

W treści projektu wskazano również 2 cele szczegółowe, tj. (1) „uzyskanie nie mniejszego niż 75% poziomu zaszczepienia pełnym schematem szczepienia przeciwko półpaścowi w populacji mieszkańców Lublina zakwalifikowanych do PPZ” oraz (2) „zmniejszenie o 5% w okresie trwania programu liczby zachorowań na półpaśiec i neuralgię półpaścową wśród populacji mieszkańców Lublina w wieku 55 lat i więcej”.

W projekcie programu zaproponowano 3 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek osób, u których w teście wiedzy uzyskano wysoki poziom wiedzy (min. 75% poprawnych odpowiedzi) w zakresie czynników ryzyka, przebiegu oraz profilaktyki półpaśca i neuralgii półpaścowej, względem wszystkich osób uczestniczących w działaniach edukacyjnych, które wypełniły test (Iloraz osób z wysokim poziomem wiedzy w teście w stosunku do wszystkich osób wypełniających test)”, (2) „odsetek osób zaszczepionych przeciwko półpaścowi pełnym schematem szczepienia względem wszystkich osób z populacji docelowej zakwalifikowanych do PPZ (Iloraz liczby osób zaszczepionych przeciwko półpaścowi pełnym schematem szczepienia i liczby osób z populacji docelowej zakwalifikowanych do PPZ)”, (3) „odsetek zachorowań na półpaśca i neuralgię półpaścową w populacji osób w wieku 55 lat i więcej z terenu Lublina w ostatnim roku realizacji PPZ w stosunku do ostatniego roku przed jego realizacją. (Iloraz wszystkich zachorowań osób w wieku 55 lat i więcej z terenu Lublina w ostatnim roku realizacji PPZ w stosunku do liczby zachorowań w ostatnim roku przed jego realizacją)”.

Wśród kryteriów włączenia do programu wskazano: wiek 55-64 lat, zamieszkanie na terenie Lublina, brak wcześniejszego szczepienia przeciwko półpaścowi, pozytywne badanie kwalifikujące do szczepienia, niespełnianie kryteriów do refundacji szczepionki oraz zgoda pacjenta na udział w programie.

Wśród kryteriów wyłączenia z programu wskazano: wiek poniżej 55 r.ż. lub powyżej 64 r.ż., brak pisemnej zgody na udział w programie, niezamieszkiwanie na terenie Lublina, przeciwwskazania zdrowotne do wykonania szczepienia, wcześniejsze zaszczepienie pełnym schematem szczepień przeciwko wirusowi półpaśca oraz spełnianie wymogów do refundacji szczepionki.

Wnioskodawca wskazał, że edukacja pacjenta przeprowadzona zostanie w ramach „wizyty szczepiennej”. Podkreślono, że pacjentowi przekazane zostaną informacje w zakresie czynników ryzyka, przebiegu oraz profilaktyki półpaśca i neuralgii półpaścowej. Działania edukacyjne będą obejmować również następujące zagadnienia: zakres działania szczepionki oraz jej bezpieczeństwo, pozytywne skutki szczepień ochronnych, niebezpieczeństwo, jakie niosą ze sobą infekcje wywołane przez wirus wywołujący półpaśca i ospę wietrzną, profilaktyka chorób zakaźnych i zdrowy styl życia, a także postępowanie w przypadku wystąpienia niepożądanych odczynów poszczepiennych. W projekcie podkreślono, że w ramach edukacji uczestnikom zostaną również udzielone wyczerpujące odpowiedzi na wszelkie pytania związane ze szczepieniem, a także uzyskana zostanie zgoda na wykonanie szczepienia. Ewaluacja programu przeprowadzona zostanie z wykorzystaniem zdefiniowanych wcześniej mierników efektywności. Przedstawione w projekcie mierniki zostały prawidłowo sformułowane.

Uwagi Rady:

- wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętych wartości docelowych dla celu głównego i celów szczegółowych,
- jeden ze wskaźników odnosi się bardziej do monitorowania,
- nie przedstawiono kosztów jednostkowych w odniesieniu do lekarskiego badania kwalifikacyjnego, edukacji pacjenta i utylizacji odpadów.

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.451.10.2026 „Program profilaktyki półpaśca oraz neuralgii popółpaścowej wśród mieszkańców Lublina w wieku 55-64 lata”, data ukończenia: kwiecień 2026 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych „Programy z zakresu profilaktyki półpaśca i neuralgii popółpaścowej – wspólne podstawy oceny” z lutego 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 63/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj.:

- *zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny;*
- *sarkoidoza płucna;*
- *zapalne choroby reumatyczne;*
- *inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9).*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leków zawierających substancje czynne: mycophenolas mofetil (MMF) w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny, sarkoidoza płucna, zapalne choroby reumatyczne, inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9). Analizowane wskazania obejmują heterogenną grupę chorób o podłożu immunologicznym i zapalnym: zapalenie płuc z nadwrażliwości (HP), sarkoidozę płucną, zapalne choroby reumatyczne (w tym z zajęciem płuc) oraz inne śródmiąższowe choroby płuc (ILD). Choroby te charakteryzują się przewlekłym przebiegiem, ryzykiem progresji do włóknienia płuc i niewydolności oddechowej oraz znacznym wpływem na jakość życia. Standardowe leczenie opiera się głównie na glikokortykosteroidach oraz klasycznych lekach immunosupresyjnych, jednak ich stosowanie wiąże się z istotnymi działaniami niepożądanymi, a skuteczność bywa ograniczona. Mycophenolas mofetil (2-morfolinoetylowy estr MPA) jest lekiem immunosupresyjnym. MPA jest selektywnym, niekompetycyjnym i odwracalnym inhibitorem IMPDH, dlatego

hamuje syntezę de novo nukleotydów guaninowych bez wbudowywania się w strukturę DNA. Proliferacja limfocytów T oraz B jest wybitnie uzależniona od syntezy puryn de novo, podczas gdy komórki innego typu dysponują alternatywnymi drogami syntezy. Dlatego MPA wywiera silniejsze działanie cytostatyczne na limfocyty niż na inne komórki. Oprócz hamowania IMPDH, która skutkuje deprywacją limfocytów, MPA wpływa również na komórkowe punkty kontrolne odpowiedzialne za programowanie metaboliczne limfocytów. Wykazano, że przy użyciu ludzkich limfocytów T CD4+ MPA przesuwaa aktywność transkrypcyjną w limfocytach ze stanu proliferacyjnego do procesów katabolicznych istotnych dla metabolizmu i przeżycia. Prowadzi to do stanu anergii limfocytów T, w którym komórki przestają reagować na swój swoisty antygen.

Alternatywne technologie medyczne stosowane w analizowanym wskazaniu:

- Zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny: glikokortykosteroidy systemowe, azatiopryna off-label, rytuksymab;
- Sarkoidoza płucna: glikokortykosteroidy systemowe, metotreksat, azatiopryna;
- Zapalne choroby reumatyczne: glikokortykosteroidy systemowe, rytuksymab, tocilizumab.
- Inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9): glikokortykosteroidy systemowe, azatiopryna, rytuksymab.

Liczebność populacji na oszacowana na podstawie analiz oraz opinii ekspertów:

- Zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny – 360 pacjentów;
- Sarkoidoza płucna – 100 pacjentów;
- Zapalne choroby reumatyczne – 907 pacjentów;
- Inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9) – 190 pacjentów.

Dowody naukowe

Rekomendacje kliniczne zasadniczo wskazują na zasadność stosowania MMF w analizowanych wskazaniach choć nie zawsze są one bardzo silne i tak:

Zapalenie płuc z nadwrażliwości (HP) – brak jednoznacznych, ustandaryzowanych schematów leczenia; immunosupresja (w tym MMF) jest stosowana w praktyce klinicznej, szczególnie w przypadkach opornych, jednak dowody są ograniczone.

Sarkoidoza płucna (ERS 2021) – podstawą leczenia są glikokortykosteroidy, następnie metotreksat; MMF nie jest standardem, ale może być rozważany w przypadku nietolerancji lub nieskuteczności terapii pierwszej linii.

Zapalne choroby reumatyczne (ACR 2025, BSR 2022) – MMF jest uznanym lekiem immunosupresyjnym, szczególnie w toczniu rumieniowatym układowym oraz ILD związanej z chorobami tkanki łącznej.

Inne ILD (ACR/CHEST 2023) - MMF wymieniany jako jedna z opcji immunosupresyjnych, zwłaszcza w terapii skojarzonej ze steroidami lub w leczeniu podtrzymującym.

Odnosząc się do skuteczności klinicznej po zastosowaniu MMF to obserwacje kształtują się w następujący sposób:

Zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny (HP) - Dane z przeglądu i metaanalizy obejmującej badania o bardzo zróżnicowanej metodologii wskazują, że MMF nie wykazywał istotnej poprawy FVC% (średnia zmiana: 1,96; (95%CI: -1,87; 5,78), co sugeruje brak jednoznacznego efektu w tym punkcie końcowym. Jednocześnie w analizie DLCO% MMF był powiązany z istotną poprawą [średnia zmiana: 5,89; (95%CI: 1,42; 10,54)], choć towarzyszyła temu bardzo wysoka heterogeniczność ($I^2 = 88,8\%$), co ogranicza pewność wniosków. W badaniach raportujących procentową zmianę względem wartości wyjściowych obserwowano zmienne wyniki FVC% dla MMF, a dla DLCO% w dwóch badaniach odnotowano wzrost o ok. 2–5%. Autorzy podkreślali, że immunosupresja (w tym MMF) może mieć potencjalną rolę – zwłaszcza w przypadkach opornych – ale ogólna niejednorodność danych utrudnia wyciąganie jednoznacznych wniosków.

Sarkoidoza płucna - w dostępnych badaniach obserwacyjnych wyniki dla MMF są niejednoznaczne: w małej kohorcie leczonej długoterminowo obserwowano poprawę objawów i zmian radiologicznych oraz istotną poprawę parametrów czynnościowych płuc (w tym FEV₁ i FVC), przy jednoczesnym wyraźnym efekcie „steroid-sparing” (spadek dawki prednizolonu do niskich wartości). W większej retrospektywnej kohorcie (37 pacjentów) nie wykazano istotnych statystycznie zmian FVC ani DLCO po 6 i 12 miesiącach w analizach głównych, natomiast odnotowano istotne zmniejszenie dawki glikokortykosteroidów po 6 miesiącach oraz sygnał możliwej poprawy u pacjentów zmieniających terapię z powodu nietolerancji wcześniejszego leczenia. W jednośrodkowej analizie 10 pacjentów MMF w skojarzeniu z GKS wiązało się z istotną poprawą FVC i FEV₁ oraz stabilizacją TLC i DLCO, a jednocześnie umożliwiało redukcję dawek GKS. Większość działań niepożądanych była łagodna (infekcje GDO, objawy żołądkowo-jelitowe, łagodna leukopenia).

Badania sugerują możliwą użyteczność MMF jako leku oszczędzającego steroidy, ale z uwagi na retrospektywny charakter i małe próby potrzebne potwierdzenie wyników w badaniach lepszej jakości.

Zapalne choroby reumatyczne - RA-ILD (w ramach przeglądu obejmującego głównie badania obserwacyjne) MMF powodował stabilizację lub niewielką

poprawą %FVC w analizach przed–po terapii i nie powodował pogorszenia parametrów czynnościowych płuc, choć wyniki cechowała bardzo duża heterogeniczność i ryzyko biasu publikacyjnego. MMF w analizach przed po terapii, był jedyną interwencją powodującą poprawę %DLCO, a w analizach porównawczych (leczeni vs nieleczeni) wykazano przewagę MMF w zmianie %DLCO [+8,97% (95%CI: 7,32; 10,36)], przy umiarkowanej heterogeniczności. Jednocześnie w ocenach „progresji”, MMF nie redukował istotnie ryzyka progresji RA-ILD, co może wynikać z różnic w definicjach punktów końcowych oraz ograniczeń bazy dowodowej. W danych z praktyki klinicznej w rzadkich chorobach tkanki łącznej MMF najczęściej prowadził do stabilizacji lub poprawy, a profil bezpieczeństwa oceniano jako dobry. W podgrupie zILD poprawę obserwowano rzadziej, a progresję częściej niż u pacjentów bezILD. Dodatkowo przegląd narracyjny wskazuje, że wCTD-ILD (np. SSc-ILD) MMF bywa skuteczny i lepiej tolerowany niż część alternatyw, ale jakość dowodów jest zróżnicowana i często opiera się na badaniach nie-randomizowanych.

MMF charakteryzuje się akceptowalnym profilem bezpieczeństwa: najczęstsze działania niepożądane: objawy żołądkowo-jelitowe (biegunka), infekcje, leukopenia/limfopenia, niedokrwistość a ryzyko przerwania leczenia nie jest większe niż w terapiach porównawczych. W analizach pośrednich tolerancja MMF lepsza niż w przypadku niektórych leków przeciwfibrotycznych i porównywalna lub lepsza niż azatiopryny. Zatem MMF jest terapią relatywnie dobrze tolerowaną, wymagającą rutynowego monitorowania hematologicznego i infekcyjnego.

Główne argumenty decyzji:

- MMF w wytycznych jako opcja terapeutyczna, choć często nie pierwszego wyboru,
- Pozytywne opinie ekspertów, podkreślające zasadność stosowania w przypadkach nietolerancji lub nieskuteczności terapii standardowych,
- Refundacja w określonych przypadkach może przyczynić się do obniżenia wydatków płatnika publicznego. Ewentualny wzrost wydatków wydaje się być na akceptowalnym poziomie.

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 nr: OTAD.422.2.1.2025 „Mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych: Zapalenie płuc związane z nadwrażliwością na pył organiczny Sarkoidoza płucna Zapalne choroby reumatyczne Inne śródmiąższowe choroby płuc (J84.8, J84.9)”; data ukończenia: 9 kwietnia 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 64/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych
niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego
tj. choroba śródmiąższowa płuc

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/autozapalnej choroby reumatycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leków zawierających substancję czynną: Mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.: choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/autozapalnej choroby reumatycznej.

Mycophenolas mofetil nie był dotychczas przedmiotem oceny Rady w przedmiotowych wskazaniach pozarejestacyjnych. Oceniany stan kliniczny może wystąpić w przebiegu wielu autoimmunologicznych/autozapalnych chorób reumatycznych, min:

- *Zapalenia naczyń związane z p-ciałami ANCA;*
- *Twardzina układowa;*
- *Toczeń rumieniowaty układowy;*
- *Zapalenie wielomięśniowe;*
- *Reumatoidalne zapalenie stawów;*

Mycophenolas mofetil (2-morfolinoetylowy estr MPA) jest lekiem immunosupresyjnym. MPA jest selektywnym, niekompetycyjnym i odwracalnym inhibitorem IMPDH, dlatego hamuje syntezę de novo nukleotydów guaninowych bez wbudowywania się w strukturę DNA. Proliferacja limfocytów T oraz B jest

wybitnie uzależniona od syntezy puryn *de novo*, podczas gdy komórki innego typu dysponują alternatywnymi drogami syntezy. Dlatego MPA wywiera silniejsze działanie cytostaticzne na limfocyty niż na inne komórki. Oprócz hamowania IMPDH, która skutkuje deprivacją limfocytów, MPA wpływa również na komórkowe punkty kontrolne odpowiedzialne za programowanie metaboliczne limfocytów. Wykazano, że przy użyciu ludzkich limfocytów T CD4+ MPA przesuwają aktywność transkrypcyjną w limfocytach ze stanu proliferacyjnego do procesów katabolicznych istotnych dla metabolizmu i przeżycia. Prowadzi to do stanu anergii limfocytów T, w którym komórki przestają reagować na swój swoisty antygen.

Alternatywne technologie medyczne stosowane w analizowanym wskazaniu: glikokortykosteroidy systemowe, rytuksymab, tocilizumab.

Dowody naukowe

Mykofenolan mofetylu (MMF) jest w wytycznych opisywany jako ważna, konwencjonalna terapia immunosupresyjna stosowana w wybranych zapalnych chorobach reumatycznych oraz w śródmiąższowych chorobach płuc (ILD) powiązanych z chorobami autoimmunologicznymi.

W SLE (ACR 2025) MMF zaliczono do tradycyjnych leków immunosupresyjnych, a typowe dawkowanie wynosi 2–3 g/dobę. ACR rekomenduje również wczesne włączenie immunosupresji (w tym MMF) przy utrzymującej się aktywności SLE, aby uzyskać remisję/niski poziom aktywności i ograniczyć toksyczność steroidów.

W IIM (BSR 2022) MMF jest wymieniany jako jedna z opcji terapeutycznych (szczególnie w pediatrii dla objawów skórnych i mięśniowych), a u dorosłych może być rozważany zarówno w leczeniu aktywnego zapalenia mięśni, jak i w długoterminowym utrzymaniu remisji.

W SARD-ILD (ACR/CHEST 2023) MMF jest warunkowo rekomendowany jako opcja leczenia pierwszej linii (obok rytuksymabu, cyklofosfamidu i AZA), a w SSc-ILD dodatkowo uzasadniany porównywalną skutecznością do cyklofosfamidu przy korzystniejszym profilu tolerancji.

Mykofenolan mofetylu (MMF) w chorobach autoimmunologicznych z zajęciem płuc i nerek wykazuje umiarkowaną, ale klinicznie istotną skuteczność, przede wszystkim w zakresie stabilizacji choroby. W śródmiąższowych chorobach płuc (ILD) związanych z chorobami tkanki łącznej obserwuje się niewielką poprawę lub zahamowanie spadku FVC oraz korzystny wpływ na DLCO, choć wyniki badań są heterogeniczne i często oparte na danych obserwacyjnych. MMF rzadziej wykazuje wpływ na „twarde” punkty końcowe, takie jak progresja choroby. W zajęciu nerek, zwłaszcza w przebiegu toczni rumieniowatej układu, MMF stanowi standard leczenia, skutecznie indukując remisję i podtrzymując kontrolę choroby. Łącznie dane wskazują, że MMF jest bardziej lekiem

stabilizującym niż odwracającym przebieg choroby, ale jego skuteczność jest dobrze ugruntowana w kluczowych podgrupach pacjentów.

W analizach dotyczących ILD związanej z chorobami autoimmunologicznymi MMF charakteryzował się akceptowalną tolerancją, a ryzyko przerwania leczenia z powodu działań niepożądanych nie było istotnie większe niż w grupach kontrolnych; w porównaniach pośrednich MMF wypadł korzystniej (mniej przerw) niż niektóre terapie o gorszej tolerancji. Zdarzenia niepożądane raportowane najczęściej u pacjentów otrzymujących MMF obejmowały objawy ze strony przewodu pokarmowego (szczególnie biegunka) oraz zakażenia/„zapalenie płuc”, a także zaburzenia hematologiczne takie jak limfopenia/leukopenia i niedokrwistość; opisywano również zakażenia skóry.

Główne argumenty decyzji:

- Aktualne dowody naukowe oraz wytyczne kliniczne potwierdzają zasadność stosowania mykofenolanu mofetylu w leczeniu śródmiąższowych chorób płuc oraz zajęcia nerek w przebiegu chorób autoimmunologicznych,*
- Terapia może przynieść korzyści pacjentom, którzy źle tolerują dostępne technologie alternatywne - szczególnie glikokortykosteroidy,*
- Akceptowalne obciążenie płatnika publicznego a nawet możliwe oszczędności.*

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 nr: OTAD.422.2.2.2025 „Mycophenolas mofetil we wskazaniu pozarejestacyjnym: Choroba śródmiąższowa płuc i zajęcie nerek w przebiegu autoimmunologicznej/ autozapalnej choroby reumatycznej”; data ukończenia: 9 kwietnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 65/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
karboplatyna w skojarzeniu z gemcytabiną oraz niwolumabem
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną refundację leków zawierających substancję czynną karboplatyna w skojarzeniu z gemcytabiną oraz niwolumabem we wskazaniach pozarejestacyjnych: w leczeniu pierwszej linii raka urotelialnego w stadium miejscowego zaawansowania poza możliwościami miejscowego leczenia o charakterze radykalnym lub w stadium uogólnienia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Obecnie program lekowy B.141 Leczenie pacjentów z rakiem urotelialnym (ICD-10: C61, C65, C66, C67, C68), obejmuje leczenie niwolumabem w skojarzeniu z gemcytabiną i cisplatyną w pierwszej linii. Rak urotelialny to najczęstszy złośliwy nowotwór pęcherza moczowego (90% przypadków). W celu optymalizacji leczenia pierwszej linii raka urotelialnego w stadium miejscowo zaawansowanym nieresekcyjnym lub w stadium uogólnionym zachodzi potrzeba rozszerzenia zapisów programu lekowego B.141 o możliwość zastosowania karboplatyny zamiast cisplatyny w skojarzeniu z niwolumabem i gemcytabiną w przypadku wystąpienia udokumentowanych przeciwwskazań do kontynuacji leczenia cisplatyną.

Wytyczne kliniczne

Obecnie rekomendowanym schematem leczenia w I linii zaawansowanego lub przerzutowego raka urotelialnego jest enfortumab wedotyny w skojarzeniu z pembrolizumabem (Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej 2024 (PTOK 2024), European Association of Urology 2025 (EAU 2025), National Comprehensive Cancer Network 2025 (NCCN ver.3.2025), European Society of Medical Oncology (ESMO 2024).

W leczeniu pierwszej linii zaawansowanego lub przerzutowego raka urotelialnego stosowana jest cisplatyna w skojarzeniu z niwolumabem i gemcytabiną. Natomiast, u chorych, którzy niekwalifikują się do cisplatyny

zalecana jest chemioterapia skojarzona z zastosowaniem gemcytabiny z karboplatyną, zwykle z następowym leczeniem podtrzymującym awelumabem (EAU 2025, NCCN ver.3.2025, ESMO 2024). Cisplatyny nie stosuje się np. u chorych ze stanem sprawności ECOG 2 (pacjent niezdolny do pracy zawodowej), z zaburzeniami funkcji nerek (GFR w zakresie 30–60 ml/min). W analizowanych wytycznych, schematy cisplatyna/karboplatyna z gemcytabiną (w populacji niekwalifikującej się do cisplatyny) oraz niwolumab w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną są wymieniane jako alternatywne opcje terapeutyczne. Wg wytycznych PTOK 2024 podstawową opcją terapeutyczną u chorych na raka urotelialnego z bezwzględными przeciwwskazaniami do zastosowania cisplatyny jest wykorzystanie w terapii karboplatyny, co wiąże się jednak z mniejszym potencjałem przeciwnowotworowym leczenia. Karboplatyna jest mniej nefrotoksyczna niż cisplatyna, ale wykazuje działanie mielotoksyczne.

Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej uwzględnienie w programie lekowym B.141. zapisu, że w przypadku „przeciwwskazań do kontynuacji leczenia z zastosowaniem cisplatyny, dopuszcza się zamianę cisplatyny na karboplatynę” jest uzasadnione, „a zastąpienie cisplatyny karboplatyną w praktyce klinicznej dotyczyć może 8-10% chorych”.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono porównawczych danych klinicznych oceniających skuteczność oraz bezpieczeństwo zmiany cisplatyny na karboplatynę stosowanej w schemacie obejmującym niwolumab i gemcytabinę u pacjentów z wcześniej nieleczonym, nieoperacyjnym lub przerzutowym rakiem urotelialnym.

W pierwotnym badaniu z randomizacją CheckMate 901, porównywano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania niwolumabu w skojarzeniu z cisplatyną i gemcytabiną (NIVO-CT) z efektami stosowania gemcytabiny w połączeniu z cisplatyną (GC) u pacjentów z wcześniej nieleczonym, nieoperacyjnym lub przerzutowym rakiem urotelialnym wywodzącym się z pęcherza moczowego, moczowodu, miedniczki nerkowej lub cewki moczowej. W badaniu, 16,1% pacjentów z grupy NIVO-CT zmieniło leczenie z cisplatyny na karboplatynę i otrzymało co najmniej jedną dawkę karboplatyny w terapii skojarzonej. W populacji ogólnej wykazano istotnie statystycznie dłuższe przeżycie całkowite w grupie NIVO-CT (mediana 21,7 mies., 95% CI: 18,6–26,4) w porównaniu do GC (18,9 mies., 95% CI: 14,7–22,4; wzrost o 22%).

W retrospektywnym badaniu z rzeczywistej praktyki klinicznej (Lin 2022), obejmującym 130 pacjentów z przerzutowym rakiem urotelialnym (mUC), którzy nie kwalifikowali się do leczenia cisplatyną, w podgrupie leczonych IC z gemcytabiną + karboplatyną (IC-GCa) uzyskano najwyższe wskaźniki odpowiedzi na leczenie: obiektywna odpowiedź na leczenie (ORR) 54,5%

i wskaźnik kontroli choroby (DCR) 90,9%, względem immunoterapii (monoterapia) oraz IC z pojedynczą chemioterapią. Pacjenci IC-GCa mieli istotnie dłuższe przeżycie wolne od progresji (PFS) w porównaniu do IC z pojedynczą chemioterapią (10,9 vs. 2,7 mies., $p = 0,005$).

W opracowaniu (Galsky 2012) opartym na metaanalizie randomizowanych badań porównujących chemioterapię opartą na cisplatynie i karboplatynie w leczeniu przerzutowego raka urotelialnego. Stwierdzono, że schematy oparte na poch. platyny były istotnie skuteczniejsze w zakresie odpowiedzi całkowitej i ogólnej niż schematy oparte na karboplatynie. Opracowanie to nie obejmowało immunoterapii ani skojarzeń z inhibitorami punktów kontrolnych, dlatego nie dostarcza danych bezpośrednio odnoszących się do schematu niwolumab + karboplatyna + gemcytabina.

Analiza ekonomiczna

W analizie przyjęto maksymalny odsetek wskazany przez Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej (10%), co odpowiada populacji ■ pacjentów rocznie. Zgodnie z oszacowaniami, w wariancie minimalnym, w przypadku wystąpienia przeciwwskazań do kontynuowania leczenia cisplatyną po podaniu jej 1 dawki w skojarzeniu z niwolumabem oraz gemcytabiną i zamianą cisplatyny na karboplatynę w ramach stosowanego schematu leczenia, nastąpi wzrost wydatków płatnika o ok. ■. W wariancie maksymalnym wzrost wydatków płatnika wynikający z kontynuacji leczenia pacjentów w ramach programu lekowego po zamianie cisplatyny na karboplatynę oszacowano na ok. ■.

Analiza ma jednak istotne ograniczenia, m.in. ograniczeniem analizy jest brak danych epidemiologicznych dotyczących rzeczywistego odsetka pacjentów przechodzących z terapii cisplatyną na terapię karboplatyną, danych dotyczących przebiegu ich dalszego leczenia (w tym terapii podtrzymującej) oraz fakt, że uwzględniono wyłącznie koszty leków, bez kosztów podania, monitorowania i działań niepożądanych. W związku z tym przyjęte wartości mogą nie odzwierciedlać rzeczywistej praktyki klinicznej.

Główne argumenty decyzji:

- Stosowanie karboplatyny jest uwzględnione w aktualnych wytycznych klinicznych;
- Potrzeba alternatywy dla cisplatyny w przypadku przeciwwskazań do jej stosowania;
- Pozytywna opinia Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii klinicznej;
- Wzrost wydatków płatnika na akceptowalnym poziomie.

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 nr: DWOK.415.1.2026 „Karboplatyna w skojarzeniu z gemcytabiną oraz niwolumabem we wskazaniu: leczenie pierwszej linii raka urotelialnego w stadium miejscowego zaawansowania poza możliwościami miejscowego leczenia o charakterze radykalnym lub w stadium uogólnienia”; data ukończenia: 10 kwietnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Bristol-Myers Squibb Polska sp. z o.o..

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb 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 2022 r., 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) i , 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: Bristol-Myers Squibb Polska sp. z o.o..



Opinia Rady Przejrzystości
nr 66/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
fentanylium (postać donosowa) 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 fentanylium (postać donosowa) we wskazaniach pozarejestacyjnych: ból przebijający u dzieci z chorobą nowotworową, które w ramach leczenia przewlekłego bólu nowotworowego poddawane są opioidowej terapii podtrzymującej, a u których istnieją udokumentowane przeciwwskazania do stosowania innych krótkotrwale działających opioidów lub stwierdzono nieskuteczność tych leków.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotychczas fentanyl podawany donosowo we wskazaniach pozarejestacyjnych jak powyżej był dwukrotnie pozytywnie zaopiniowany przez Radę Przejrzystości w 2020 (239/2020) i 2023 roku (99/2023).

Dowody naukowe

W publikacji przeglądowej Coluzzi (2025) fentanyl w formie przezskórnej jest zalecany do leczenia bólu w populacji pediatrycznej a w przeglądzie systematycznym Serra (2023) donosowy fentanyl w populacji pediatrycznej był porównywalny lub nawet skuteczniejszy od innych form podania przy zachowaniu podobnego profilu bezpieczeństwa.

W ostatnich trzech latach nie ukazały się żadne nowe publikacje mogące sugerować konieczność zmiany opinii.

Główne argumenty decyzji:

- *Zalecenia i wytyczne towarzystw naukowych;*
- *Wyniki przeglądu systematycznego;*
- *Brak nowych danych wskazujących na szkodliwość takiej drogi podania leku w populacji pediatrycznej.*

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 67/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną desmopressinum 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 desmopressinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: pierwotne izolowane moczenie nocne u pacjentów pomiędzy 5-6 rokiem życia z prawidłową zdolnością zagęszczania moczu po udokumentowaniu nieskuteczności 1-miesięcznego postępowania wspomagającego i motywującego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotychczas desmopresyna podawana we wskazaniach pozarejestacyjnych jak powyżej była czterokrotnie pozytywnie zaopiniowana przez Radę Przejrzystości w latach 2016, 2017, 2020 i 2023 roku (100/2023).

Dowody naukowe

Południowoafrykańskie wytyczne Adam (2024) zalecają stosowanie desmopresyny u dzieci z moczeniem nocnym podobnie jak zalecenia kanadyjskie Harris (2023). Na podstawie przeglądu literatury za okres ostatnich 3 lat od wydania poprzedniej opinii nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania.

Główne argumenty decyzji:

- *Zalecenia i wytyczne towarzystw naukowych;*
- *Wyniki badań klinicznych;*
- *Brak nowych wyników badań sugerujących konieczność modyfikacji uprzednio wydanych opinii.*

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 68/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną carboplatinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. nowotwór złośliwy przełyku

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną carboplatinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.6.: C15 – nowotwór złośliwy przełyku.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W 2023 r. Rada Przejrzystości wydała opinię pozytywną w sprawie objęcia refundacją produktów leczniczych zawierających substancję czynną carboplatinum we wskazaniach zakwalifikowanych do kodów ICD-10: C15.1 Piersiowa część przełyku, C15.2 Brzuszna część przełyku, C15.4 Środkowa część przełyku, C15.5 Dolna część przełyku w katalogu leków stosowanych w chemioterapii. Zgodnie z wytycznymi, stosowanie karboplatyny znajduje uzasadnienie w przypadku raka przełyku w przedoperacyjnej radiochemioterapii (karboplatyna w skojarzeniu z paklitakselem). Karboplatyna zalecana jest również u pacjentów z ograniczonym nieresekcyjnym płaskonabłonkowym rakiem przełyku w kombinacji z paklitakselem oraz radioterapią.

Rak przełyku stanowi ok. 2% wszystkich nowotworów złośliwych, a najczęstszą jego postacią jest rak płaskonabłonkowy występujący w ok. 90% przypadków. Pozostałe 10% stanowi rak gruczolowy. W Polsce rejestruje się rocznie około 1 450 przypadków raka przełyku. W oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów opracowane dla 2019 roku, liczba zgonów z powodu raka przełyku (ICD-10: C15) wyniosła łącznie: 1 645, a średni odsetek 5-letnich przeżyć – 5-10%. Rozpoznanie ustala się na podstawie badania endoskopowego i oceny histologicznej wycinków pobranych ze zmiany. Chemioradioterapia jest stosowana u pacjentów, u których rak rozwinął się w piersiowym lub brzuszonym odcinku przełyku i którzy, z powodu innych chorób towarzyszących nie mogą zostać zoperowani. W przypadku raka rozwijającego się w szyjnej części przełyku leczeniem z wyboru jest chemioradioterapia.

Karboplatyna jest lekiem przeciwnowotworowym. Karboplatyna podobnie jak cisplatyna indukuje zmiany w nadspiralnej konformacji DNA, co jest zgodne z „działaniem skracającym DNA”. Produkty lecznicze zawierające karboplatynę są podawane dożylnie.

Wytyczne kliniczne

Według wytycznych National Comprehensive Cancer Network 2023 (NCCN), preferowane schematy radiochemioterapii, zarówno w przypadku radiochemioterapii przedoperacyjnej, jak i ostatecznej (CRT) nowotworu płaskonabłonkowego (SCC) przełyku oraz połączenia przełykowo-żołądkowego (EGJ) powinny opierać się na paklitakselu+karboplatynie lub fluorouracylu+oksaliplatynie. Paklitaksel w skojarzeniu z karboplatyną wskazano również jako opcję pośród innych preferowanych schematów w leczeniu pierwszej linii gruczolakoraków (AC) oraz raków płaskonabłonkowych (SCC) przełyku. W schematach leczenia chemioterapią wytyczne ESMO 2022 i rekomendacje ASCO 2020 z pochodnych platyny uwzględniają cisplatynę i oksaliplatynę.

Dowody naukowe

Aktualny przegląd baz danych: Medline (Pubmed), Embase (via Ovid), Cochrane Library (materiały opublikowane od stycznia 2023 r.) nie kwestionują zasadności refundacji karboplatyny w omawianych wskazaniach.

Wyniki wieloośrodkowego randomizowanego badania III fazy CROSS, największego badania w swojej klasie, wykazały, że przedoperacyjna radiochemioterapia paklitakselem i karboplatyną znacząco poprawiła czas ogólnego przeżycia (OS), czas przeżycia wolnego od progresji (DFS) w porównaniu z samym zabiegiem chirurgicznym u pacjentów z rakiem resekcyjnym (T2–T3, N0–1, M0) przełyku lub EGJ (n=366; 75% pacjentów z gruczolakorakiem, 23% z SCC). Po okresie obserwacji o medianie wynoszącej 84,1 miesiąca mediana OS wyniosła 48,6 miesiąca w grupie przedoperacyjnej chemioradioterapii w porównaniu z 24 miesiącami w grupie poddanej samej operacji (HR, 0,68; 95% CI, 0,53–0,88; p=0,003). Mediana OS dla pacjentów z SCC wyniosła 81,6 miesiąca w grupie przedoperacyjnej radiochemioterapii i 21,1 miesiąca w grupie poddanej wyłącznie zabiegowi chirurgicznemu (P = 0,008); u pacjentów z gruczolakorakiem mediana OS wyniosła odpowiednio 43,2 miesiąca i 27,1 miesiąca (p = 0,038). Wyniki tych badań potwierdziły korzyści w zakresie przeżycia po przedoperacyjnej radiochemioterapii paklitakselem i karboplatyną u chorych na resekcyjne raki przełyku lub EGJ. Radiochemioterapia przedoperacyjna nie wpłynęła negatywnie na jakość pooperacyjną życia

w porównaniu z samym zabiegiem chirurgicznym u pacjentów uczestniczących w badaniu CROSS. Schemat CROSS jest kluczowym punktem odniesienia w onkologii przełyku, a jego zastosowanie znacznie poprawia rokowania pacjentów.

NCCN zaleca również schemat paklitaksel+karboplatyna jako preferowaną opcję ostatecznej chemioradioterapii. W retrospektywnym porównaniu, ostateczna chemioradioterapia paklitakselem i karboplatyną skutkowała lepszym OS, przeżyciem specyficznym dla choroby, kontrolą lokoregionalną i leczeniem paliatywnym u pacjentów z nieoperacyjnym rakiem przełyku w porównaniu z cisplatyną i irynotekaniem.

Główne argumenty decyzji:

Wytyczne kliniczne i dowody naukowe potwierdzają dotychczasowe wnioski Rady Przejrzystości.

Tryb wydania opinii

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 69/2026 z dnia 13 kwietnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
paclitaxelum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną refundację leków zawierających substancję czynną paclitaxelum we wskazaniach pozarejestrowanych: załącznik C.47: C15 – nowotwór złośliwy przełyku, C21 – nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W 2023 r. Rada Przejrzystości wydała opinię pozytywną w sprawie objęcia refundacją produktów leczniczych zawierających substancję czynną paklitaksel w zakresie wskazań do stosowania, dawkowania lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. zaawansowany miejscowo rak przełyku o umiejscowieniu w części piersiowej (kody ICD-10: C15.1 i C15.4) oraz zaawansowany miejscowo rak przełyku o lokalizacji brzusznej (kody ICD-10: C15.2, C15.5) pod warunkiem zastosowania paklitakselu w leczeniu chorych z rozpoznaniem płaskonabłonkowego raka przełyku jedynie w przypadku kojarzenia chemioterapii (paklitaksel i karboplatyna) z napromieniowaniem podczas wstępnego leczenia przed postępowaniem radykalnym z udziałem chirurgicznego leczenia oraz w przypadku raka odbytu i kanału odbytu (kody ICD-10: C.21).

Rak przełyku stanowi ok. 2% wszystkich nowotworów złośliwych, a najczęstszą jego postacią jest rak płaskonabłonkowy występujący w ok. 90% przypadków. Pozostałe 10% stanowi rak gruczolowy. W Polsce rejestruje się rocznie około 1 450 przypadków raka przełyku. W oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów dla 2019 roku, liczba zgonów z powodu raka przełyku (ICD-10: C15) wyniosła łącznie: 1 645, a średni odsetek 5-letnich przeżyć – 5-10%. Rozpoznanie ustala się na podstawie badania endoskopowego i oceny histologicznej wycinków pobranych ze zmiany. Chemioradioterapia jest stosowana u pacjentów, u których rak rozwinął się w piersiowym lub brzuszonym odcinku przełyku i którzy, z powodu innych chorób towarzyszących nie mogą zostać zoperowani. W przypadku raka

rozwijającego się w szyjnej części przełyku leczeniem z wyboru jest chemioradioterapia.

Rak odbytu stanowi mniej niż 1% raków ogółem. Częściej chorują kobiety niż mężczyźni, a wiek zachorowania to zwykle 60-65 lat. W odbycie najczęściej rozwijają się raki typu płaskonabłonkowego (naskórkowego), stanowiące od 80 do 95% przypadków. W zachorowaniu na raka płaskonabłonkowego odbytu ważną rolę odgrywają uwarunkowania genetyczne. W przypadku raka kanału odbytu leczeniem jest radiochemioterapia. Skuteczność chemioterapii u chorych na raka kanału odbytu wynosi około 75%. Liczebność pacjentów ogółem, u których sprawozdano zastosowanie chemioterapii we wskazaniu nowotwór złośliwy odbytu i kanału odbytu (kod ICD-10: C21 wraz z podkodami) wyniosła od 259 do 342 osób w latach 2017-2021.

Paklitaksel łącząc się z tubuliną, stabilizuje mikrotubule, zapobiega ich depolimeryzacji i hamuje funkcje wrzeciona podziałowego (działa w fazie M).

Wytyczne kliniczne

Według wytycznych National Comprehensive Cancer Network 2023 (NCCN), preferowane schematy radiochemioterapii, zarówno w przypadku radiochemioterapii przedoperacyjnej, jak i ostatecznej (CRT) nowotworu płaskonabłonkowego (SCC) przełyku oraz połączenia żołądkowo-przełykowego-żołądkowego (EGJ) powinny opierać się na paklitakselu+karboplatynie lub fluorouracylu+oksalipłatynie. Paklitaksel w skojarzeniu z karboplatyną wskazano również jako opcję pośród innych preferowanych schematów w leczeniu pierwszej linii gruczolakoraków (AC) oraz raków płaskonabłonkowych (SCC) przełyku.

Wg wytycznych ESMO 2021 karboplatynę w skojarzeniu z paklitakselem należy uznać za nowy standard postępowania u chorych na zaawansowanego raka odbytu, nieleczonych wcześniej przy użyciu chemioterapii. Wytyczne National Comprehensive Cancer Network 2023 (NCCN) wskazują karboplatynę z paklitakselem jako preferowany schemat leczenia pierwszej linii raka kanału odbytu lub okołodbytniczego z przerzutami. Według wytycznych PTOK 2020, w przypadku odległych przerzutów w przebiegu raka odbytu należy zastosować chemioterapię paliatywną – schemat paklitaksel w skojarzeniu z karboplatyną jest jednym z zazwyczaj stosowanych schematów w leczeniu paliatywnym, obok fluorouracylu skojarzonego z cisplatiną.

Dowody naukowe

Aktualny przegląd baz danych: Medline (Pubmed), Embase (via Ovid), Cochrane Library (materiały opublikowane od stycznia 2023 r.) potwierdza zasadność refundacji paklitakselu w omawianych wskazaniach.

Wyniki wielośrodkowego randomizowanego badania III fazy CROSS, największego badania w swojej klasie, wykazały, że przedoperacyjna radiochemioterapia paklitakselem i karboplatyną znacząco poprawiła

czas ogólnego przeżycia (OS), czas przeżycia wolnego od progresji (DFS) w porównaniu z samym zabiegiem chirurgicznym u pacjentów z rakiem resekcyjnym (T2–T3, N0–1, M0) przełyku lub EGJ (n=366; 75% pacjentów z gruczolakorakiem, 23% z SCC). Po okresie obserwacji o medianie wynoszącej 84,1 miesiąca mediana OS wyniosła 48,6 miesiąca w grupie przedoperacyjnej chemioradioterapii w porównaniu z 24 miesiącami w grupie poddanej samej operacji (HR, 0,68; 95% CI, 0,53–0,88; p=0,003). Mediana OS dla pacjentów z SCC wyniosła 81,6 miesiąca w grupie przedoperacyjnej radiochemioterapii i 21,1 miesiąca w grupie poddanej wyłącznie zabiegowi chirurgicznemu (P = 0,008); u pacjentów z gruczolakorakiem mediana OS wyniosła odpowiednio 43,2 miesiąca i 27,1 miesiąca (p = 0,038). Wyniki tych badań potwierdziły korzyści w zakresie przeżycia po przedoperacyjnej radiochemioterapii paklitakselem i karboplatyną u chorych na resekcyjne raki przełyku lub EGJ. Radiochemioterapia przedoperacyjna nie wpłynęła negatywnie na jakość pooperacyjną życia w porównaniu z samym zabiegiem chirurgicznym u pacjentów uczestniczących w badaniu CROSS. Schemat CROSS jest kluczowym punktem odniesienia w onkologii przełyku, a jego zastosowanie znacznie poprawia rokowania pacjentów.

NCCN zaleca również schemat paklitaksel+karboplatyna jako preferowaną opcję ostatecznej chemioradioterapii. W retrospektywnym porównaniu, ostateczna chemioradioterapia paklitakselem i karboplatyną skutkowała lepszym OS, przeżyciem specyficznym dla choroby, kontrolą lokoregionalną i leczeniem paliatywnym u pacjentów z nieoperacyjnym rakiem przełyku w porównaniu z cisplatyną i irynotekanem.

Wyniki wielośrodkowego badania II fazy InterAACT (clinicaltrials.gov NCT02051868) (n=91) dotyczącego pacjentów z wcześniej nieleczonym, nieoperacyjnym, miejscowo nawracającym lub przerzutowym rakiem płaskonabłonkowym odbytu wykazały podobne wskaźniki odpowiedzi na terapię dla karboplatyny i paklitakselu oraz cisplatyny i 5-fluorouracylu (5-FU) (mediany czasu przeżycia bez progresji (PFS) i całkowitego przeżycia (OS) wyniosły 8,1 miesiąca i 20 miesięcy dla karboplatyny z paklitakselem oraz 5,7 miesiąca i 12,3 miesiąca dla cisplatyny z 5-FU (HR dla OS 2,0; 95% CI 1,15–3,47; p=0,014). Karboplatyna+paklitaksel wykazywały mniejszą toksyczność w porównaniu do cisplatyny+5-FU (71% vs. 76% toksyczności stopnia ≥ 3 i 36% vs. 62% [P = 0,016] poważnych zdarzeń niepożądanych). Wyniki badania InterAACT potwierdzają, że chemioterapia z zastosowaniem schematu opartego na platynie i paklitakselu była korzystna dla niektórych pacjentów z rakiem odbytu z przerzutami.

Główne argumenty decyzji:

Wytyczne kliniczne i dowody naukowe potwierdzają dotychczasowe wnioski Rady Przejrzystości.

Tryb wydania opinii

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