



DOR.001.12.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 18/2026
w dniu 27 kwietnia 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 09:55.

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

1. Małgorzata Bała
2. Andrzej Dąbrowski
3. Małgorzata Dziedziak
4. Paweł Grzesiewski
5. Roman Junik
6. Elżbieta Lanc
7. Marcin Lipowski
8. Ewa Obuchowicz
9. Zbigniew Siudak
10. Anna Socha-Banasiak

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lyvdelzi (seladelpar) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ayvakyt (avapritinibum) w ramach programu lekowego B.115. „Leczenie chorych na mastocytozy układowe (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.0)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny produktu Influvac, szczepionka przeciw grypie (rozszczepiony wirion), inaktywowana) we wskazaniu: profilaktyka grypy.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”.

6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Dębница Kaszubska na lata 2026-2027”.
7. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Marcin Lipowski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Lyvdelzi (seladelpar), w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 2 proponowanego porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada podjęła decyzję o zmianie kolejności omawiania tematów – zmieniony porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lyvdelzi (seladelpar) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny produktu Influvac, szczepionka przeciw grypie (rozszczepiony wirion), inaktywowana) we wskazaniu: profilaktyka grypy.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Dębница Kaszubska na lata 2026-2027”.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ayvakyt (avapritinibum) w ramach programu lekowego B.115. „Leczenie chorych na mastocytozy układowe (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.0)”.
7. Zakończenie posiedzenia.

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

Ad 2. Analitik Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Lyvdelzi.

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Dziedziak i Anna Socha-Banasiak.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

Małgorzata Bała i Andrzej Dąbrowski doprecyzowali treść uchwały, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na konflikt interesów (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. szczepionki Influvac.

Głos zabrali: Marcin Lipowski, Małgorzata Bała, Andrzej Dąbrowski i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Ewa Obuchowicz i Zbigniew Siudak, a przedstawiła Ewa Obuchowicz.

Rada przeprowadziła dyskusję, w której uczestniczyli: Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz, Andrzej Dąbrowski i Anna Socha-Banasiak.

Treść uchwały doprecyzowali: Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Dziedziak i Marcin Lipowski.

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

Ad 4. Analitik Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej z zakresu diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci (Dolny Śląsk).

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała i Paweł Grzesiewski, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji streścił projekt programu polityki zdrowotnej z zakresu rehabilitacji leczniczej gminy Dębica Kaszubska.

Głos zabrali: Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski, Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz, a projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Marcin Lipowski, Małgorzata Bała, Elżbieta Lanc i Andrzej Dąbrowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował dane dot. leku Ayvakyt.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Marcin Lipowski, Andrzej Dąbrowski i Roman Junik.

Rada wysłuchiwała stanowisk dopuszczonych do udziału w posiedzeniu ekspertów z dziedziny medycyny. Eksperci odpowiadali także na pytania Rady.

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Marcin Lipowski, Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Roman Junik i Marcin Lipowski.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Andrzej Dąbrowski, Marcin Lipowski, Anna Socha-Banasiak i Roman Junik.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:12.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 55/2026 z dnia 27 kwietnia 2026 roku
w sprawie oceny leku Lyvdelzi (seladelpar) w ramach programu
lekowego „Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg
żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Lyvdelzi (seladelpar), kapsułki twarde, 10 mg, 30 szt., GTIN: 05391507148452, we wskazaniu: leczenie pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC, ang. primary biliary cholangitis) u dorosłych pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie z zastosowaniem kwasu ursodeoksycholowego (UDCA, ang. ursodeoxycholic acid) lub z nietolerancją UDCA, a także z nietolerancją lub przeciwwskazaniami do fibratów, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Lyvdelzi (seladelpar) we wskazaniu: leczenie pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC, ang. primary biliary cholangitis) u dorosłych pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie z zastosowaniem kwasu ursodeoksycholowego (UDCA, ang. ursodeoxycholic acid) lub z nietolerancją UDCA, a także z nietolerancją lub przeciwwskazaniami do fibratów, w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)”.

Seladelpar jest agonistą receptora delta aktywowanego przez proliferatory peroksysomów (ang. peroxisome proliferator-activated receptor delta, PPAR δ). PPAR δ to receptor jądrowy występujący w wątrobie i w innych tkankach. Aktywacja PPAR δ powoduje zmniejszenie syntezy kwasów żółciowych w wątrobie poprzez zależne od czynnika wzrostu fibroblastów 21 (FGF21) hamowanie aktywności CYP7A1, kluczowego enzymu dla syntezy kwasów żółciowych z cholesterolu oraz przez zmniejszenie syntezy i wchłaniania

cholesterolu. Działania te powodują mniejszą ekspozycję na kwasy żółciowe w wątrobie i zmniejszenie stężenia krążących kwasów żółciowych.

Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu Lyvdelzi (preparatu seladelparu) zostało udzielone w procedurze dopuszczenia warunkowego.

Problem zdrowotny

Pierwotne zapalenie dróg żółciowych (ICD-10: K74.3) – wcześniej pierwotna marskość żółciowa wątroby, jest przewlekłą chorobą cholestatyczną wątroby o etiologii autoimmunologicznej. Charakteryzuje się stopniowym niszczeniem drobnych wewnątrzwątrobowych przewodów żółciowych, co prowadzi do zaburzeń odpływu żółci (cholestazy), przewlekłego stanu zapalnego i stopniowego włóknienia miększu wątroby. Stadia PBC: (1) zmiany w przewodach żółciowych, (2) proliferacja przewodów żółciowych, (3) zwłóknienie lub bliznowacenie, (4) marskość wątroby. Marskość i niewydolność wątroby wynikają z przewlekłego zapalenia i postępującego włóknienia miększu. Stan ten stanowi bezpośrednie zagrożenie życia i często wymaga przeszczepienia wątroby.

Według dostępnych wytycznych towarzystw, podstawową terapią, mającą na celu spowolnienie przebiegu choroby jest stosowanie kwasu ursodeoksycholowego (UDCA). W przypadku nieskuteczności UDCA, zalecane są fibraty.

W ramach nowatorskiej terapii, elafibranor (ELA) był dostępny wyłącznie w ramach RDTL, a jego miejsce w terapii może ulec zmianie dopiero po zakończeniu trwających prac nad wnioskiem refundacyjnym.

Epidemiologia

PBC może występować niezależnie od płci, jednak zdecydowanie częściej rozpoznawane jest u kobiet, które stanowią około 90% wszystkich przypadków. Najczęściej PBC rozpoznaje się między 40. a 60. rokiem życia. Choroba nie występuje u dzieci. Choroba klasyfikowana jest jako rzadka. Według danych światowych szacuje się, że występuje z częstością od 2 do 40 przypadków na 100 000 osób. Szacuje się, że skumulowany wskaźnik chorobowości dla PBC wynosi 18,1 na 100 000 osób, przy rocznej zapadalności na poziomie 1,8 na 100 000 osób. Nie ma danych epidemiologicznych z Polski.

Dowody naukowe

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest nieodnalezienie badań spełniających kryteria włączenia dla populacji w pełni zgodnej z kryteriami włączenia do proponowanego programu lekowego. Badania włączone do analizy klinicznej (AKL) nie uwzględniają statusu nietolerancji lub przeciwwskazań do stosowania fibratów. AKL w odniesieniu do terapii standardowej (SOC) jako komparatora opiera się na jednym badaniu komparatywnym RESPONSE porównującym wnioskowaną technologię lekową z placebo (PLC) [badania

Bowlus 2022 oraz ASSURE nie dostarczały danych w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa SEL+SOC vs. PLC+SOC], a dane dotyczące skuteczności u pacjentów z nietolerancją UDCA są ograniczone. Pierwszorzędowym punktem końcowym była złożona odpowiedź biochemiczna, jednak kliniczne znaczenie zmian biochemicznych i ich trafność jako zastępczego punktu końcowego wciąż wymagają potwierdzenia, a krótki okres obserwacji względem PLC nie pozwala na wnioskowanie w zakresie istotnych klinicznie punktów końcowych takich jak np. zgon lub przeszczepienie wątroby. Populacja z badania RESPONSE odpowiada głównie populacji pacjentów z wczesnym stadium PBC, w konsekwencji dowody skuteczności i bezpieczeństwa SEL w populacji z bardziej zaawansowaną PBC są ograniczone. Wnioskowanie w zakresie wpływu SEL na świąd jest ograniczone.

AKL w odniesieniu do ELA jako komparatora opiera się na porównaniu pośrednim, które wiąże się z pewnymi ograniczeniami. Brakuje badań bezpośrednio porównujących ELA i SEL. Badania pośrednie sugerują, że oba leki dają podobne efekty kliniczne.

Wytyczne kliniczne

Wszystkie odnalezione wytyczne zostały opublikowane przed datą rejestracji leku Lyvdelzi (seladelpar) tj. 14.08.2024 r. (USA), 20.02.2025 r. (Europa) i nie zawierają zleceń dotyczących stosowania seladelparu w terapii PBC. W jednych wytycznych (AASLD 2018) wspomniano, że wśród nowych analizowanych opcji terapeutycznych znajduje się selektywny agonista receptora PPAR - seladelpar oraz inni agoniści receptora FXR.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie SEL+SOC w miejsce SOC+PLC jest droższe i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ [REDACTED] oraz 503 753 PLN/QALY odpowiednio w wariancie z RSS i bez RSS.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Lyvdelzi w wariancie podstawowym spowoduje [REDACTED] wydatków NFZ [REDACTED] w wariancie z RSS oraz wzrost wydatków NFZ o ok. 12,92 mln PLN w I roku i o ok. 73,54 mln PLN w II roku refundacji w wariancie bez RSS.

Głównym i poważnym ograniczeniem tej analizy jest niepewność dotycząca liczebności populacji docelowej.

Rekomendacje refundacyjne

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Lyvdelzi (stan na 08.09.2025 r.) jest finansowany w dwóch krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych), tj. w Hiszpanii i Niemczech. Poziom refundacji ze środków

publicznych wynosi tam [REDAKTOWANE], a wskazanie w jakim jest refundowane to PBC, zgodnie z ChPL. W Niemczech [REDAKTOWANE].

Główne argumenty decyzji

- *Badania skuteczności seladelparu w PBC są na wstępnym etapie. Brakuje bezpośrednich porównań z komparatorami, a wyniki pośrednich porównań obarczone są licznymi ograniczeniami.*
- *Nie wiadomo czy terapia seladelparem wydłuży życie chorych i zmniejszy liczbę przeszczepów wątroby. Dotychczasowe badania sugerują, że u niektórych pacjentów terapia seladelparem poprawia wyniki dla zastępczych punktów końcowych i świądu.*
- *Obciążenie budżetu płatnika jest aktualnie bardzo trudne do oszacowania, ale prawdopodobnie byłoby znaczne.*
- *Lek jest refundowany tylko w 5 krajach spośród 30 UE i EFTA.*

Uwagi Rady:

- *Ocena seladelparu powinna być ściśle powiązana z oceną elafibranoru. Leki mają bardzo zbliżony mechanizm działania i nie jest jasne, czy seladelpar obniża poziom enzymów wątrobowych bardziej niż elafibranor.*
- *Zapisy programu lekowego wymagają głębokiej korekty.*

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: DOWM.4131.2.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lyvdelzi (seladelpar) w ramach programu lekowego: »Leczenie pacjentów z pierwotnym zapaleniem dróg żółciowych (PBC) (ICD-10: K74.3)«”; data ukończenia: 14.04.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Gilead Sciences Ireland UC.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Gilead Sciences Ireland UC 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: Gilead Sciences Ireland UC.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 56/2026 z dnia 27 kwietnia 2026 roku
w sprawie oceny produktu Influvac (szczepionka przeciw grypie)
we wskazaniu: profilaktyka grypy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Influvac (szczepionka przeciw grypie [antygen powierzchniowy], inaktywowana), zawieszona do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 1 dawka (0,5 ml), 1 amp.-strzyk., GTIN: 05901797711283, we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, tj. profilaktyka grypy, zwłaszcza u osób o zwiększonym ryzyku wystąpienia powikłań pogrypowych; Influvac jest wskazany dla osób dorosłych i dzieci od ukończenia 6 miesięcy życia, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50%, pod warunkiem zrównania ceny szczepionki Influvac (TIV) z ceną obecnie dostępnej szczepionki Influvac Tetra (QIV).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Influvac to trójwalentna (TIV) inaktywowana szczepionka przeciw grypie (antygen powierzchniowy), która zawiera trzy szczepy wirusa: A/Victoria/4897/2022 (H1N1) pdm09-podobny szczep; A/Croatia/10136RV/2023 (H3N2) - podobny szczep; B/Austria/1359417/2021 (linia B/Victoria) - podobny szczep.

Zgodnie z zaleceniem Grupy Zadaniowej ds. Sytuacji Nadzwyczajnych (ETF) Europejskiej Agencji Leków (EMA) od sezonu 2025/2026 zasadne jest stosowanie szczepionek trójwalentnych zamiast czterowalentnych (QIV). Influvac nie zawiera szczepu B/Yamagata, który jak stwierdzono, nie stanowi już zagrożenia.

Ustalony poziom odpłatności oraz grupa limitowa (247.0 szczepionki przeciw grypie) nie budzą zastrzeżeń.

Szczepionka wywołuje czynne uodpornienie przeciw szczepom wirusa grypy zawartym w szczepionce. Jej podanie indukuje swoiste przeciwciała przeciwko wirusowej hemaglutyninie, która umożliwia infekcję poprzez fuzję z błonami komórek gospodarza. W konsekwencji przeciwciała neutralizują wirusy grypy.

Odpowiedź immunologiczna jest uzyskiwana zazwyczaj w ciągu 2–3 tygodni. Czas utrzymywania się odporności na szczepy homologiczne lub szczepy pokrewne szczepom wirusa zawartym w szczepionce zazwyczaj wynosi od 6 do 12 miesięcy od zaszczepienia. Zgodnie z wnioskiem refundacyjnym Influvac będzie stosowany w profilaktyce grypy, zwłaszcza u osób o zwiększonym ryzyku wystąpienia powikłań pogrypowych. Jest wskazany dla osób dorosłych i dzieci od ukończenia 6 miesiąca życia. Może być również stosowany u osób w wieku ≥ 60 lat (oprócz szczepionek wysokodawkowych takich jak Efluelda i Efluelda Tetra). Zgodnie z kalendarzem szczepień zalecanych na 2026 rok, u dzieci i młodzieży szczepienie należy wykonać od 7. miesiąca życia w postaci 1 dawki (pierwsze szczepienie w życiu do 8 lat - 2 dawki w odstępie 4 tygodni), natomiast u dorosłych jako 1 dawka przed oraz w trakcie sezonu infekcyjnego, który trwa zwykle 3 miesiące (w Europie od października do kwietnia).

Aktualnie refundowane są szczepionki czterowalentne (QIV): Influvac Tetra i Vaxigrip Tetra, które zawierają szczep B/Yamagata.

Dowody naukowe

W wieloośrodkowych randomizowanych badaniach III fazy: badaniu Van de Witte 2018 (osoby w wieku > 18 lat w dniu szczepienia) i Vesikari 2020 (osoby w wieku 3 – 17 lat) stwierdzono, że obie szczepionki Influvac (TIV) i Influvac Tetra (QIV) wykazują zbliżoną aktywność immunologiczną wyrażoną jako średnie geometryczne miano przeciwciał (GMT) hamujących hemaglutynację (HI) przeciwciał swoistych dla szczepów zawartych w preparatach. Większą skuteczność QIV względem TIV wykazano wyłącznie w odniesieniu do immunogeności względem przeciwciał swoistych dla szczepów B obecnych tylko w składzie szczepionki QIV. W metaanalizach sieciowych Minozzi 2022 i Veroniki 2024 nie wykazano istotnych statystycznie różnic w skuteczności pomiędzy szczepionkami TIV i QIV. W zakresie ryzyka występowania działań niepożądanych w fazie immunizacji, jak i długoterminowej obserwacji nie stwierdzono istotnych różnic poza tym, że u osób dorosłych ryzyko wystąpienia bólu stawów i rumienia było odpowiednio o 60% i 87% niższe w grupie otrzymującej TIV w porównaniu do QIV (Van de Witte 2018), a w grupie dzieci i młodzieży (Vesikari 2020) ryzyko objawów żołądkowo-jelitowych było o 36% niższe w grupie szczepionej TIV. Podobne wyniki były w przeglądzie Minozzi 2022. Natomiast dane przedstawione w przeglądzie Wei 2023 wskazują na częstsze występowanie biegunki po stosowaniu TIV.

Problem ekonomiczny

Przeprowadzono analizę kosztów-konsekwencji (CCA) w porównaniu ze szczepionkami czterowalentnymi Influvac Tetra i Vaxigrip Tetra, z perspektywy NFZ oraz wspólnej w horyzoncie czasowym 1 roku. Zgodnie z wynikami analizy podstawowej, przy poziomie odpłatności 50% koszt

z perspektywy NFZ [REDAKTOWANE], natomiast z perspektywy wspólnej koszt szczepionek wynosi: Influvac - [REDAKTOWANE], Influvac Tetra - 52,81 PLN; VaxigripTetra - 53,26 PLN. Zgodnie z treścią analizy wnioskodawcy, dopłata pacjenta przy poziomie odpłatności 50% wynosi w przypadku szczepionki Influvac [REDAKTOWANE], w przypadku Influvac Tetra 26,41 PLN, a w przypadku VaxigripTetra 26,86 PLN.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego – NFZ oraz z perspektywy wspólnej, tj. NFZ i świadczeniobiorcy (pacjenta) w 2 letnim horyzoncie czasowym obejmującym sezony: 2026/2027 (od 1 lipca 2026 r.) oraz 2027/2028.

Oszacowana łączna liczba pacjentów zaszczepionych przeciw grypie preparatem Influvac to [REDAKTOWANE] pacjentów w pierwszym roku oraz [REDAKTOWANE] pacjentów w drugim roku refundacji (w tym odpowiednio ok. 538 tys. oraz [REDAKTOWANE] W grupie wiekowej 65+).

Wariant analizy z uwzględnieniem, że szczepionka Influvac jednocześnie z objęciem refundacją apteczną (wykaz A1) zostanie umieszczona w wykazach leków przysługujących bezpłatnie świadczeniobiorcom: wykaz (D1 (osobom w wieku poniżej 18 lat), D2 (powyżej 65 r.ż.), wykaz E (kobietom w ciąży) tj. analogicznie dla aktualnych warunków refundacji preparatu Influvac Tetra z perspektywy płatnika publicznego spowoduje [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] PLN w kolejnych latach analizy względem scenariusza istniejącego. Wariant ten w analizie wnioskodawcy przyjęto jak scenariusz podstawowy, jednak w opinii Agencji, nie stanowi on odzwierciedlenia warunków wniosku refundacyjnego i powinien być traktowany jako wariant alternatywny. Zgodnie bowiem z warunkami wniosku refundacyjnego poziom odpłatności dla szczepionki Influvac wynosi 50%, a umieszczenie leku w ramach dodatkowych wykazów tj.: np. w ramach listy D1, D2, E leży w gestii Ministerstwa Zdrowia. Z perspektywy wspólnej, prognozuje się [REDAKTOWANE] PLN w każdym roku analizy. [REDAKTOWANE].

Wnioskodawca przedstawił także wyniki przy założeniu, że produkt leczniczy Influvac w odróżnieniu od komparatorów nie zostanie uwzględniony na wykazach D1, D2 i E. Przy takim założeniu obniżenie wydatków z perspektywy NFZ ma wynosić ok. [REDAKTOWANE] PLN w pierwszym roku i ok. [REDAKTOWANE] PLN w drugim roku refundacji, a wzrost wydatków całkowitych o [REDAKTOWANE] PLN.

Przy założeniu, że preparat Influvac jednocześnie z objęciem refundacją apteczną zostanie umieszczony w wykazach leków przysługujących bezpłatnie świadczeniobiorcom w ramach list D1, D2, oraz E (analiza główna wg wnioskodawcy), wszystkie warianty analizy wrażliwości wskazują na dodatkowe wydatki w perspektywie NFZ w zakresie wysokości [REDAKTOWANE] PLN rocznie. W perspektywie wspólnej dodatkowe wydatki [REDAKTOWANE] PLN,

pozostają bez zmian względem analizy podstawowej, czyli bez refundacji 100% w ramach dodatkowych wykazów.

Podobnie jak w analizie podstawowej (wg Agencji to wariant alternatywny) wszystkie warianty analizy wrażliwości w przypadku, gdy Influvac nie będzie umieszczany na wykazach D1, D2 oraz E, wskazują w perspektywie NFZ na oszczędności zarówno w I roku (zakres [REDAKTOWANO] PLN) jak i w II roku analizy (zakres [REDAKTOWANO] PLN). W perspektywie wspólnej w każdym wariantcie wskazano na [REDAKTOWANO] w wysokości [REDAKTOWANO] PLN rocznie.

Agencja zwróciła uwagę na ograniczenia przeprowadzonej przez Wnioskodawcę analizy.

Wnioski refundacyjne innych szczepionek trójwalentnych przeciw grypie (Vaxigrip oraz Efluelda) są obecnie w trakcie procedowania.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną rekomendację dotyczącą preparatu Influvac, francuskiej agencji HAS. Agencja ta wydała w 2025 r. pozytywną opinię w zakresie stosowania szczepionki w profilaktyce grypy u dorosłych oraz dzieci od 6. miesiąca życia, zgodnie z obowiązującymi zaleceniami szczepień.

Influvac jest finansowany w czterech krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych), [REDAKTOWANO]

Główne argumenty decyzji

- Aktualne wytyczne kliniczne Europejskiej Agencji Leków.
- Porównywalna skuteczność terapeutyczna i bezpieczeństwo w porównaniu ze szczepionką czterowalentną.

Uwaga Rady:

- Produkt leczniczy Influvac (TIV), podobnie jak dostępny obecnie Influvac Tetra (QIV), powinien być umieszczony na wykazach D1, D2, E w celu poprawy dostępności i wyszczepialności.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.4130.5.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Influvac (szczepionka przeciw grypie [antygen powierzchniowy], inaktywowana) we wskazaniu: Profilaktyka grypy, zwłaszcza u osób o zwiększonym ryzyku wystąpienia powikłań pogrypowych. Influvac jest wskazany dla osób dorosłych i dzieci od ukończenia 6 miesiąca życia”, data ukończenia: 17 kwietnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Viatris Healthcare Limited.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Viatris Healthcare Limited 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: Viatris Healthcare Limited.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 75/2026 z dnia 27 kwietnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych
społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Województwo Dolnośląskie: „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”. Program ma być realizowany przez 36 miesięcy (od momentu wyboru realizatora).

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 4 032 354 zł (1 344 118 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany ze środków Unii Europejskiej.

Celem głównym programu jest: poprawa stanu zdrowia oraz rokowania dzieci i młodzieży do 18 r.ż. z grup defaworyzowanych z terenu Dolnego Śląska poprzez zwiększenie odsetka wczesnego (do 6 miesięcy od zgłoszenia) rozpoznania wad rozwojowych i stworzenia adekwatnych zaleceń terapeutycznych do poziomu co najmniej 75% uczestników programu w okresie jego realizacji. Projekt przewiduje także 8 celów szczegółowych.

Program będzie skierowany do dzieci w wieku od 0 do 18 r.ż. zamieszkujących teren Dolnego Śląska, pochodzących z grup defaworyzowanych z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju.

Wnioskodawca podkreślił, że liczebność populacji, która zostanie włączona do 3-letniego programu przy zachowaniu równego dostępu do oferowanych działań wyniesie 1500 dzieci z grup defaworyzowanych (tj. 500 pacjentów rocznie). Wnioskodawca uzasadnił, że ustalenie wartości na poziomie 500 pacjentów

rocznie wynika z doświadczeń z realizacji innego PPZ (do programu włączono średnio 300 noworodków i niemowląt – do 12 miesiąca życia – rocznie) oraz z okoliczności rozszerzenia kryterium wieku włączenia do PPZ do 18 roku życia.

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada:

- działania promujące program;
- konsultacje w ramach e-konsylium specjalistów przyspieszające postawienie właściwej diagnozy i uruchomienie postępowania terapeutycznego;
- ustalenie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej z zakresu opieki spersonalizowanej;
- diagnostyczne świadczenia zdrowotne dla dzieci objętych PPZ: szeroko przepustowe badania genetyczne metodą NGS (około 100 badań rocznie), USG serca, USG przezciemiączkowe, USG jamy brzusznej, USG szwów czaszkowych, USG kanału kręgowego (około 50 badań rocznie), specjalistyczne badania okulistyczne (około 50 badań okulistycznych);
- lekarską konsultację specjalistyczną według zaleceń e-konsylium w formie konsultacji osobistej lub teleporady (w sumie 750 konsultacji dla wybranych pacjentów potrzebujących pilnych konsultacji dodatkowych);
- konsultację i diagnozę terapeutyczną (lekarz rehabilitacji lub fizjoterapeuta);
- wsparcie psychologiczne dziecka, opiekunów w formie konsultacji osobistej lub teleporady (około 650 konsultacji psychologicznych rocznie, około 100 diagnoz rocznie);
- diagnozę neurozwoju: diagnoza SI, ADOS-2, psychologiczna (łącznie - 750 konsultacji rocznie), fizjoterapeutyczna (około 100 konsultacji na rok), logopedyczna (około 100 konsultacji na rok).

Udział w programie zakończy się postawieniem diagnozy lub wykluczeniem choroby/zaburzenia rozwoju. Wraz z końcem procesu diagnostycznego pacjent otrzyma podsumowanie przeprowadzonych działań w formie spójnego dokumentu przygotowanego przez Koordynatorów Programu, zatwierdzonego przez przewodniczącego e-konsylium. W dokumencie zawarte będą również dalsze zalecenia dotyczące procesów terapeutycznych dostępnych w ramach NFZ. Powodem zakończenia udziału w PPZ może być również pisemna rezygnacja z udziału w Programie złożona przez opiekunów dziecka.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że eksperci kliniczni są zgodni, jeśli chodzi o potrzebę diagnozowania zaburzeń rozwojowych, wykonywania badań przesiewowych oraz wdrażania procesu terapeutycznego, przy czym interwencje przewidziane do realizacji w ramach programu w większości znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych finansowanych ze środków NFZ. Natomiast na terenie Województwa Dolnośląskiego funkcjonuje 378 podmiotów leczniczych, które posiadają umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu AOS, 639 w zakresie POZ oraz 160 podmiotów z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Dodatkowo należy wskazać, że oceniany projekt PPZ nie odnosi się do jednego problemu zdrowotnego, a obejmuje szeroki zakres problemów zdrowotnych odnoszących się do wad rozwoju oraz chorób rzadkich w populacji niemowląt, dzieci i młodzieży.

W zakresie ocenianego projektu PPZ należy wskazać, że podobny projekt programu województwa dolnośląskiego: „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku”, był przedmiotem analizy, zarówno Rada Przejrzystości (3 lutego 2026 r.), jak i Prezes AOTMiT (5 lutego 2026 r.), wydali opinie negatywne w zakresie ww. projektu PPZ. Główną przesłanką negatywnej opinii był zbyt szeroki zakres wiekowy populacji docelowej oraz uwzględnienie w programie zbyt wielu problemów zdrowotnych. Uwagi te pozostają aktualne w przypadku obecnie ocenianego projektu PPZ.

Główne argumenty decyzji:

- Nie przedstawiono jednego problemu zdrowotnego, a szeroki zakres problemów zdrowotnych odnoszących się do wad rozwoju oraz chorób rzadkich w populacji niemowląt, dzieci i młodzieży.
- Nie wskazano uzasadnienia dla rozszerzenia kryterium wieku do 18 r.ż.
- Szeroki zakres działań diagnostycznych oraz interwencyjnych skierowany jest do dzieci i młodzieży znajdującej się pod opieką medyczną (dzieci objęte hospitalizacją oraz świadczeniami AOS).
- Cel główny, jak i większość celów szczegółowych, zostały sformułowane nieprawidłowo.
- Większość przedstawionych wskaźników nie spełnia funkcji mierników efektywności lub zostało zaprojektowanych nieprawidłowo.
- Wnioskodawca przedstawił bardzo szeroki katalog „wrodzonych zaburzeń lub podejrzeń wrodzonych zaburzeń”, na podstawie których uczestnicy będą włączani do programu. Ponadto zapis dot. włączenia dzieci z „podejrzeniem wrodzonych zaburzeń” wydaje się nie precyzyjny.

- *Projekt PPZ nie uwzględnia, że osoby w wieku 18 lat są pełnoletnie i posiadają pełną zdolność do czynności prawnych.*
- *Część przedstawionych wskaźników monitorowania odnosi się bardziej do ewaluacji.*
- *Ankieta satysfakcji budzi zastrzeżenia.*
- *Nie przedstawiono kosztów monitorowania programu.*
- *Nie wskazano kosztów jednostkowych poszczególnych USG, a jedynie ogólny koszt USG oszacowany na kwotę 250 zł na osobę.*
- *Określenie jednego źródła finansowania w postaci środków Unii Europejskiej, co jest określeniem nieprecyzyjnym.*

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.451.16.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku” realizowany przez: Województwo Dolnośląskie, Warszawa, kwiecień 2026 oraz Aneksów: „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r., „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r., „Badania przesiewowe słuchu u dzieci w wieku szkolnym – wspólne podstawy oceny” z października 2021 r., „Programy z zakresu opieki nad kobietą ciężarną i w połogu ze szczególnym uwzględnieniem edukacji przedporodowej (szkoły rodzenia) – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2021 r. oraz Raportów: nr OT.431.54.2025 pn. „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebowno w latach 2025-2029” z lipca 2025 r., nr DPPZ.431.26.2025 pn. „Wsparcie dzieci i młodzieży ze spektrum płodowych zaburzeń alkoholowych (FASD) oraz ich rodziców/opiekunów na terenie Wrocławia” z grudnia 2025 r., nr OT.431.101.2024 pn. „Program poprawy opieki nad matką i dzieckiem w województwie opolskim w latach 2025-2027” ze stycznia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 76/2026 z dnia 27 kwietnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Dębica Kaszubska
na lata 2026-2027”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Dębica Kaszubska na lata 2026-2027”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

PPZ skierowany do mieszkańców Gminy Dębica Kaszubska, którzy ukończyli 18 r.ż. z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego (ok. 290 dorosłych mieszkańców co stanowi ok. 44% populacji docelowej).

Czas realizacji – lata 2026-2027

Budżet program – koszty całkowite: 400200 zł (200100 zł rocznie).

Źródło finansowania – Gmina Dębica Kaszubska (50 %) i dopłata własna pacjentów (50 %) (ewentualne dofinansowanie z NFZ).

Interwencje obejmują:

- *konsultację fizjoterapeutyczną (wizytę kwalifikującą),*
- *indywidualny plan rehabilitacyjny obejmujący cykl zabiegów fizjoterapeutycznych (10-dniowy cykl, około 4-5 zabiegów dziennie),*
- *działania edukacyjne (1 spotkanie 45 minutowe).*

PPZ jest zgodny z Mapą Potrzeb Zdrowotnych dla woj. pomorskiego.

Głównym założeniem projektu programu jest zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 minut) według skali VAS u co najmniej 30% uczestników Programu. Cel główny jest możliwy do osiągnięcia w związku z zaplanowanymi działaniami z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Wskazano również cel szczegółowy tj. utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób obwodowego układu nerwowego oraz chorób układu ruchu u co najmniej 70% populacji docelowej.

Cel wydaje się możliwy do osiągnięcia w związku z zaplanowanymi działaniami edukacyjnymi.

W projekcie zaplanowano 2 mierniki efektywności, które prawidłowo odnoszą się do celu głównego i szczegółowego.

Uwagi Rady:

- W projekcie uzasadniono przyjętą wartość docelową, odwołując się do doświadczeń innych samorządów jednak nie przedstawiono materiałów potwierdzających te informacje.
- W ramach kryteriów wyłączenia nie uwzględniono informacji dotyczących: zamieszkania poza terenem gminy, wieku poniżej 18 r.ż. oraz występowania przeciwwskazań lekarskich do rehabilitacji leczniczej realizowanej w ramach programu.
- Program przewiduje dopłatę pacjenta, co może negatywnie wpłynąć na zgłaszalność do programu i może mieć ujemny wpływ na wielkość populacji.

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.451.18.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Dębica Kaszubska na lata 2026-2027” realizowany przez: Gminę Dębica Kaszubska, Warszawa, kwiecień 2026 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 57/2026 z dnia 27 kwietnia 2026 roku
w sprawie oceny leku Ayvakyt (avapritinibum) w ramach programu
lekowego B.115. „Leczenie chorych na mastocytozy układowe
(ICD 10: C96.2, C94.3, D47.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Ayvakyt (avapritinibum), tabl. powł., 25 mg, 30 szt., GTIN: 08720165565214, we wskazaniu: leczenie chorych na indolentną mastocytozę układową (ICD-10: D47.0), w ramach programu lekowego B.115 „Leczenie chorych na mastocytozy układowe (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem wniosku (art. 24 ust. 1 ustawy o refundacji) jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Ayvakyt (AVA), avapritinibum, tabl. powł., 25 mg, 30 szt., GTIN: 08720165565214 we wskazaniu: leczenie chorych na indolentną mastocytozę układową (ICD-10: D47.0) w ramach programu lekowego B.115 „Leczenie chorych na mastocytozy układowe (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.0)”, bezpłatnie, w grupie limitowej 1314.0 Awaprytynib. Wniosek obejmuje instrumenty dzielenia ryzyka. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku: Ayvakyt (dalej AVA) zawiera się we wskazaniach rejestracyjnych.

Lek AVA jest aktualnie finansowany w ramach grupy limitowej 1314.0, Awaprytynib. Dostępne są cztery prezentacje leku, a lek AVA, tabl. powł., 25 mg, 08720165565214 stanowi podstawę limitu.

Pozwolenie na dopuszczenie do obrotu zostało udzielone w procedurze dopuszczenia warunkowego. Decyzję uzasadniono obecnością niezaspokojonej potrzeby wśród chorych na ISM oraz korzyścią wynikającą z natychmiastowej dostępności leczenia większą niż ryzyko związane z mniejszym zakresem dostępnych danych. Ponadto produkt leczniczy AVA jest klasyfikowany jako lek sierocy, we wskazaniu ISM zarejestrowany od 11.12.2023 r.

Ayvakyt, zawierający substancję czynną awaprytynib, działa poprzez hamowanie aktywności kinaz, które są odpowiedzialne za wzrost i rozprzestrzenianie się nieprawidłowych komórek tłuszczowych w organizmie.

Mastocytoza (ICD-10: D47.0) jest rzadkim nowotworem mieloproliferacyjnym, w przebiegu którego dochodzi do klonalnego rozrostu nieprawidłowych komórek tłuszczowych (mastocytów) oraz ich gromadzenia się w obrębie jednego lub kilku narządów. Istotną rolę w patogenezie mastocytozy odgrywają mutacje protoonkogenu KIT, prowadzące do niezależnej od czynnika wzrostu pnia (SCF, ang. stem cell factor) aktywacji receptora KIT, co skutkuje niekontrolowanym rozrostem mastocytów.

Indolentna mastocytoza układowa (ISM, ang. indolent systemic mastocytosis) należy do niezaawansowanych mastocytoz i jest definiowana jako nieprawidłowe gromadzenie komórek tłuszczowych w różnych tkankach, w tym w skórze, szpiku kostnym, wątrobie, śledzionie czy jelitach, z łagodnym przebiegiem choroby.

Wśród chorych na ISM obserwowane są typowe także dla mastocytozy skórnej zmiany skórne, w tym zaczerwienienie i pokrzywka. Dodatkowo nudności, wymioty, biegunka, zawroty głowy i zaburzenia neurologiczne. Stężenie tryptazy (>25 ng/ml) w surowicy jest wyraźnie podwyższone. W większości przypadków ISM postępowanie ma charakter profilaktyczny lub objawowy.

Chorzy na ISM wykazują spodziewaną długość życia podobną do populacji ogólnej, przy czym mediana przeżycia wynosi ok. 301 miesięcy. Częstość występowania mastocytozy szacuje się na 5–10 przypadków na 1 mln osób ogólnej populacji rocznie (Brockow 2014). Wyniki opublikowane na podstawie danych ponad 3000 chorych zgłoszonych do Europejskiego Rejestru Chorych na Mastocytozę (ECNM, European Competence Network on Mastocytosis) w latach 2012–2018 wskazują, że przypadki ISM stanowią 60 - 70% wszystkich mastocytoz układowych (Helbig 2020).

Dokładne dane dotyczące zapadalności i chorobowości związanej z ISM w Polsce są obecnie niedostępne. Dane dotyczące zapadalności i chorobowości w innych krajach określono na <3 na 10 000 osób.

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi, terapia pacjentów z ISM obejmuje przede wszystkim leczenie objawowe: blokery receptora histaminowego H₁, blokery receptora histaminowego H₂, inhibitory pompy protonowej, glikokortykosteroidy oraz epinefryna.

Produkt leczniczy AVA był przedmiotem prac Agencji w 2024 roku (62/2024 ZLC). Lek oceniany był w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na zaawansowane postacie mastocytozy układowej (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.9)” i uzyskał negatywną rekomendację Rady Przejrzystości (SRP 79/2024) oraz negatywną rekomendację Prezesa Agencji (Rekomendacja 82/2024).

Dowody naukowe

Skuteczność AVA została oceniona na podstawie wyników badania PIONEER będącego randomizowanym, klinicznym, kontrolowanym placebo z udziałem dorosłych pacjentów z ISM z objawami umiarkowanymi lub ciężkimi, niedostatecznie kontrolowanymi za pomocą najlepszego leczenia wspomagającego. W ramach analizy przedstawiono wyniki dla randomizowanej 2. części badania porównującej skuteczność i bezpieczeństwo AVA w dawce 25 mg raz dziennie w skojarzeniu z BSC (AVA + BSC) względem PLC w skojarzeniu z BSC (PLC + BSC). Wyniki przedstawiono dla okresu obserwacji wynoszącego 24 tygodnie. Zakończenie badania planowane jest na 2027 r.

Wyniki badania PIONEER przedstawiono na podstawie 2 publikacji pełnotekstowych (Gotlib 2023b i Siebenhaar 2026) oraz 13 publikacji będących materiałami konferencyjnymi (Gotlib 2023a; Akin 2023; 2024; Castells 2023; 2024; 2025; 2026; Giannetti 2024; 2026; Maurer 2023; Sabato 2024, Oude-Elberink 2025; Siebenhaar 2025).

Dodatkowo do analizy włączono badanie rzeczywistej praktyki klinicznej – badanie AVATAR. Wyniki badania opublikowano wyłącznie w formie abstraktu konferencyjnego Pyatilova 2025. Wyniki zaprezentowano dla 24 tygodni obserwacji.

Wyniki analizy skuteczności – z części 2. badania PIONEER

W części drugiej badania odnotowano istotną statystycznie różnicę na korzyść ocenianej interwencji w porównaniu z grupą kontrolną w zakresie zmiany wyniku TSS (Total Symptom Score, całkowity wynik dotyczący objawów) wg kwestionariusza ISM-SAF (Indolent Systemic Mastocytosis Symptom Assessment Form) ogółem względem wartości początkowych w okresie obserwacji wynoszącym 24 tygodnie. W ramieniu AVA+BSC odnotowano istotne zmniejszenie średniego TSS wg kwestionariusza ISM-SAF o ok. 16 pkt w porównaniu do ok. 9 punktów w ramieniu PLC+BSC ($p = 0,003$).

Od początku badania do 24. tygodnia istotnie większa liczba chorych stosujących AVA + BSC w porównaniu do chorych w grupie PLC + BSC osiągnęła redukcję:

- stężenia tryptazy w surowicy na poziomie $\geq 50\%$ [OR=10,31 (5,69; 18,65)];
- częstości alleliczna wariantu KIT D816V VAF $\geq 50\%$ we krwi obwodowej [OR=31,05 (10,51; 91,79)];
- wyniku TSS o $\geq 30\%$ i $\geq 50\%$ (odpowiednio [OR=1,98 (1,08; 3,63)]; [OR=3,02 (1,27; 7,20)]); Istotna klinicznie redukcja wyniku TSS (tj. zmniejszenie wyniku o $\geq 30\%$) zaobserwowana została u ok. 45% chorych stosujących AVA + BSC oraz u ok. 30% chorych w grupie PLC + BSC;
- nacieku komórek tucznych w szpiku kostnym o $\geq 50\%$ [OR= 3,79 (1,83;7,84)];

- całkowitą redukcję agregatów komórek tłuszczowych szpiku kostnego [OR=4,17 (1,61; 10,83)].

U 86% chorych stosujących AVA + BSC raportowano rozjaśnienie zmian skórnych po 24 tygodniach obserwacji. Nie zaobserwowano tego efektu u chorych przyjmujących PLC + BSC. Od początku badania do 24. tygodnia średnia powierzchnia zmian skórnych zmniejszyła się w grupie AVA+BSC o ok. 37%, natomiast w grupie PLC+BSC spadek ten wyniósł zaledwie ok. 2%.

W fazie otwartej badania do 48. tygodnia, odnotowano odpowiednio u 37% i 59% chorych co najmniej 50% oraz co najmniej 30% redukcję TSS w ciągu około czterech miesięcy.

W okresie od rozpoczęcia badania do 24. tygodnia odnotowano większy odsetek pacjentów, u których możliwe było ograniczenie lub całkowite przerwanie stosowania BSC w ramieniu AVA + BSC w porównaniu z ramieniem PLC + BSC, wynoszący odpowiednio ok. 24% vs. ok. 13%.

Jakość życia

Wyniki skali MC-QoL wskazują na większą poprawę jakości życia u chorych leczonych AVA + BSC niż PLC + BSC. Po 24 tygodniach obserwacji istotnie wyższy odsetek chorych w ramieniu AVA + BSC uzyskał poprawę o ≥ 1 punkt oraz ≥ 3 punkty wg kwestionariusza PGIS niż w ramieniu PLC + BSC (odpowiednio 57% vs 39% $p=0,02$; 80% vs. 44% $p<0,0001$) po 24 tygodniach obserwacji.

Ocena skuteczności AVA – badanie RWE

Leczenie AVA poprawiło jakość życia (QoL) pacjentów z ISM. Mediana wyniku w skali MC-QoL obniżyła się z 61 punktów na początku badania do 33 punktów w 4. tygodniu i 17 punktów w 24. tygodniu. Istotną statystycznie korzyść ze stosowania AVA + BSC stwierdzono po 4 tygodniach leczenia ($p < 0,001$). Mediana stężenia tryptazy w surowicy uległa znamiennej statystycznie redukcji względem wartości początkowej i wyniosła 6 mg/ml w 24. tygodniu leczenia ($p<0,001$). W badaniu AVATAR odnotowano poprawę zmian skórnych.

Analiza bezpieczeństwa

Wyniki dotyczące bezpieczeństwa terapii AVA przedstawiono w oparciu o jedną publikację pełnotekstową (Gotlib 2023b) oraz jedną publikację będącą abstraktem konferencyjnym (Sabato 2024). W części 2. badania wyniki przedstawiono dla okresu obserwacji wynoszącego 24 tygodnie. Zakończenie badania planowane jest na 2027 r.

Działania niepożądane związane z leczeniem ogółem zgłoszono u ok. połowy pacjentów biorących udział w badaniu PIONNER ok. 55% w ramieniu AVA + BSC vs ok. 45% w ramieniu PLC+BSC. Nie odnotowano istotnej różnicy między ramionami badania. Większość TRAE charakteryzowała się nasileniem 1. i 2.

stopnia i nie prowadziła do przerwania leczenia. Najczęściej występującymi TRAE w ramieniu AVA + BSC był ból głowy, obrzęk obwodowy, mdłości oraz obrzęk okołoooczodołowy. Istotnie częściej w grupie AVA + BSC w porównaniu do PLC + BSC występował obrzęk obwodowy (6,4% vs 1,4%).

Zdarzenia niepożądane szczególnego zainteresowania obejmujące zmiany poznawcze amnezja, upośledzenie pamięci, zmiana stanu psychicznego, upośledzenie umysłowe i wahania nastroju wystąpiły u 3% leczonych AVA+ BSC i 4% otrzymujących PLC+BSC. W żadnej z grup nie wystąpiły krwawienia wewnątrzczaszkowe.

Wytyczne kliniczne

Istnieje 7 dokumentów wytycznych dotyczących leczenia dorosłych pacjentów z SM (w tym ISM): zalecenia Polskiego Towarzystwa Onkologii Klinicznej (PTOK) z 2025 roku, stanowisko polskich ekspertów – Hus z 2020 roku, rekomendacje z serii Yardstick Amerykańskiego Kolegium Alergologii, Astmy i Immunologii (ACAAI) z 2025 roku, zalecenia National Comprehensive Cancer Network (NCCN) z 2026 r., wytyczne międzynarodowe opracowane przez Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) wraz z partnerami austriackimi i szwajcarskimi z 2024 roku, rekomendacje brazylijskie – Velloso z 2022 roku oraz zalecenia francuskie – Livideanu z 2025 roku opracowane na podstawie wytycznych krajowych z 2022 roku.

Wszystkie analizowane dokumenty jednoznacznie wskazują, że w ISM leczenie ma przede wszystkim charakter objawowy. Podstawę terapii stanowią antagoniści receptorów histaminowych H_1 i H_2 , rekomendowani jako leczenie pierwszej linii niezależnie od kraju. W zależności od profilu objawów rozszerzenie terapii obejmuje kromoglikan sodowy, antagonistów receptorów leukotrienowych, ketotifen, aspirynę, inhibitory pompy protonowej w objawach żołądkowo-jelitowych oraz glikokortykosteroidy i omalizumab w wybranych sytuacjach klinicznych.

W zakresie postępowania w anafilaksji rekomendowane jest zastosowanie epinefryny jako leczenia ratującego życie, uzupełnionego o antagonistów receptorów H_1 i H_2 oraz leczenie wspomagające. Omalizumab jest rekomendowany jako opcja terapeutyczna w ciężkich, nawracających epizodach anafilaksji lub w przypadkach opornych na standardową terapię przeciwhistaminową.

Leczenie cytoredukcyjne oraz terapie celowane są rekomendowane przede wszystkim dla postaci zaawansowanych SM lub przypadków indolentnych z ciężkim, opornym na leczenie objawowe przebiegiem choroby. Wytyczne wskazują na zastosowanie kladrybiny, interferonu alfa, midostauryny oraz w wybranych sytuacjach przeszczepienia allogenicznym komórkom macierzystym. Część wytycznych, w szczególności NCCN, ACAAI oraz DGHO,

dopuszcza zastosowanie inhibitorów kinazy KIT nowej generacji (w tym AVA) również w wybranych przypadkach ISM z utrzymującymi się objawami, przy określonych kryteriach bezpieczeństwa.

Istotną informację stanowi fakt, że AVA nie jest zalecany w leczeniu pacjentów z liczbą płytek krwi wynoszącą $< 50 \times 10^9/L$ (NCCN 2026).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie AVA w miejscu BSC jest [REDAKTOWANE]. Oszacowany ICUR dla porównania ocenianej interwencji z komparatorem z perspektywy płatnika publicznego wyniósł ok. [REDAKTOWANE] PLN/QALY w wariancie z RSS i ok. 4,2 mln PLN/QALY w wariancie bez RSS.

[REDAKTOWANE] Aktualna wysokość progu użyteczności kosztowej to 244 821 PLN/QALY.

Mechanizm dzielenia ryzyka (RSS) polega na [REDAKTOWANE]

Przy wartości ICUR oszacowanej w analizie podstawowej z perspektywy płatnika publicznego, wartość progowa ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość jest równy wysokości progu opłacalności, wynosi [REDAKTOWANE].

Objęcie refundacją produktu leczniczego AVA w wariancie podstawowym spowoduje [REDAKTOWANE] o ok. [REDAKTOWANE] PLN w 1. roku refundacji i ok. [REDAKTOWANE] PLN w 2. roku refundacji w wariancie z RSS.

Głównymi ograniczeniami analizy są: niepewność dotycząca liczebności populacji docelowej oraz udział w rynku technologii wnioskowanej i BSC.

Rekomendacje refundacyjne

Istnieją dwie pozytywne rekomendacje refundacyjne (HAS 2024, G-BA 2024) potwierdzające, że AVA stanowi nową opcję leczenia objawowego dla dorosłych pacjentów z ISM z objawami o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, zapewniając umiarkowaną, choć ograniczoną klinicznie poprawę przy profilu bezpieczeństwa porównywalnym do placebo, przy czym G-BA uznaje dodatkową korzyść zgodnie ze statusem leku sierocego, a HAS podkreśla rzadkość choroby, jej obciążenie oraz niewielką dodatkową wartość kliniczną terapii. W 3 innych agencjach lek jest w trakcie oceny (Medicinnradet (Dania), NCPE (Irlandia), CDA-AMC).

Lek AVA (stan na 21.09.2025 r.) jest finansowany w 12 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych). W żadnym z wymienionych krajów nie wskazano procentowego poziomu refundacji leku ze środków publicznych. W sześciu krajach warunki refundacji są zgodne z ChPL, natomiast w dwóch krajach warunkiem refundacji jest indywidualna zgoda. W sześciu krajach refundacja obejmuje ISM.

Główne argumenty decyzji

- *Brak danych na temat skuteczności i bezpieczeństwa długotrwałego stosowania tego leku.*
- *Lek zapewnia niewielką dodatkową wartość kliniczną w obecnej ścieżce terapeutycznej, obejmującej dostępne komparatory.*
- *Zbyt wysoka cena.*

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: DOWM.4131.1.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Ayvakyt (awaprytynib) we wskazaniu: leczenie chorych na indolentną mastocytosę układową w ramach programu lekowego B.115 »Leczenie chorych na mastocytosę układowe (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.0)«”; data ukończenia: 15.04.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie ekspertów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Swixx Biopharma 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: Swixx Biopharma sp. z o.o.