



DOR.001.15.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 20/2026
w dniu 11 maja 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 10:02.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Elżbieta Lanc
5. Ewa Obuchowicz
6. Anna Socha-Banasiaak
7. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Małgorzata Dziedziak
2. Paweł Grzesiewski
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 oceny leku Wainzua (eplontersen) w ramach programu lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Veyvondi (wonikog alfa) do PPZ „Narodowy Program Leczenia chorych na Hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: dla pacjentów z 2 i 3 typem choroby von Willebranda.
4. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (ICD-10 N18)”.

5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Kygevi (doxycytine and doxiribtimine) we wskazaniu: deficyt kinazy tymidynowej 2.
6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej abemacyklib we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie pooperacyjne (adjuwantowe) abemacyklibem w skojarzeniu z hormonoterapią raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu, u dorosłych pacjentów we wczesnym stadium raka piersi wykazującego ekspresję receptora hormonalnego i niewykazującego ekspresji receptora typu 2. Dla ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej województwa mazowieckiego w zakresie przeciwdziałania zespołowi stresu pourazowego (PTSD)”.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „»Widzę lepiej« Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w Łodzi”.
9. Zakończenie posiedzenia.

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

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

Ad 2. Analitik Agencji omówił raport dot. leku Wainzua.

Do posiedzenia dołączyła
Małgorzata Dziedziak, która
nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Ewa Obuchowicz i Artur Bachta, a przedstawiła Ewa Obuchowicz.

Rady doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Ewa Obuchowicz i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 3. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. produktu leczniczego Veyvondi.

Do posiedzenia dołączył
Paweł Grzesiewski, który
nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada wysłuchała stanowiska dopuszczonego do udziału w posiedzeniu przedstawiciela pacjentów.

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

Głos w dyskusji zabrali: Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasia, Małgorzata Dziedziak i Ewa Obuchowicz.

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

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Socha-Banasiak, a treść uchwały doprecyzowały: Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 4. Analitik Agencji podsumował zmiany proponowane w programie lekowym B.38.

Projekt opinii Rady przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

Głos zabrały Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Dziedziak, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował dane o leku Kygevi.

Głos zabrały Anna Czerniecka-Kubicka i Małgorzata Bała, a projekt stanowiska Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada kontynuowała dyskusję, w czym udział wzięli: Aleksandra Zasada, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Anna Czerniecka-Kubicka.

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

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował dane dot. substancji czynnej abemacyklib we wskazaniach pozarejestracyjnych.

Projekt opinii Rady przedstawiła Aleksandra Zasada.

Głos zabrały Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji przedstawił założenia programu polityki zdrowotnej województwa mazowieckiego z zakresu przeciwdziałania PTSD.

Głos zabrali Artur Bachta i Małgorzata Bała, a projekt opinii Rady przedstawiła Elżbieta Lanc.

Treść uchwały doprecyzowali: Artur Bachta, Elżbieta Lanc, Małgorzata Dziedziak i Małgorzata Bała.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej miasta Łódź z zakresu wykrywania wad wzroku.

Projekt opinii Rady przedstawił Paweł Grzesiewski.

Treść uchwały doprecyzowali: Małgorzata Dziedziak, Paweł Grzesiewski i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:24.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 61/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Wainzua (eplontersen) w ramach programu
lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią
w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej
amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Wainzua (eplontersen), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 45 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05000456084918 w ramach programu lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Wainzua (eplontersen) we wskazaniu leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1).

Eplontersen powoduje degradację mRNA transtyretyny (TTR) i w efekcie hamuje jej syntezę w wątrobie, co skutkuje znacznym zmniejszeniem stężenia zmutowanego białka TTR i białka TTR. Jest stosowany w leczeniu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stopniu zaawansowania. Produkt leczniczy Wainzua (eplontersen) został dopuszczony do obrotu w UE, 6 marca 2025 r. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla produktu leczniczego Wainzua jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Lek podawany jest podskórnie co 4 tygodnie. Do programu lekowego B.170 są kwalifikowane osoby w wieku 18 lat lub więcej z rozpoznaną dziedziczną postacią amyloidozy transtyretynowej (ATTR) potwierdzoną wynikiem badania genetycznego i stwierdzoną polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania. Kryteria włączenia do programu lekowego B.170 dla leku eplontersen są takie same, jak dla leku aktualnie refundowanego w ramach tego programu tj. wutrisyranu.

Dziedziczna amyloidozą transtyretynową (hATTR) należy do chorób rzadkich. Dziedziczna amyloidozą transtyretynową z polineuropatią (hATTR-PN) to ciężka, heterogenna choroba wieloukładowa z dominującym uszkodzeniem obwodowego układu nerwowego, spowodowana mutacjami w genie kodującym transtyretynę (TTR). Na skutek polineuropatii dochodzi do osłabienia i zaniku mięśni kończyn, utraty możliwości chodzenia, aż do całkowitego unieruchomienia chorego. Choroba prowadzi do przedwczesnego zgonu. W terapii polineuropatii w I i II stadium zaawansowania w przebiegu hATTR podstawą jest leczenie mające na celu modyfikację przebiegu choroby polegające na stosowaniu stabilizatorów transtyretyny (tafamidis, diflunizal) lub leków wyciszających gen TTR (wutrisyran, patisyran, inotersen, eplontersen). Spośród wymienionych leków, w programie lekowym B.170. refundowany jest tylko produkt leczniczy Amvuttra (wutrisyran) od kwietnia 2025 roku. Zgodnie z danymi NFZ, w 2025 roku lekiem tym w programie lekowym B.170. leczonych było 6 pacjentów z hATTR-PN w I lub II stadium zaawansowania.

MZ zwróciło się z prośbą o przeanalizowanie zasadności implementacji ogólnego zapisu o możliwości leczenia amyloidozą jedynie w monoterapii „W ramach programów lekowych dedykowanych amyloidozie transtyretynowej finansuje się terapię jednym lekiem (monoterapia)”.

Dowody naukowe

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań bezpośrednio porównujących eplontersen z komparatorem aktualnie refundowanym w ramach programu lekowego B.170. tj. wutrisyranem.

Analizę oparto na porównaniu pośrednim eplontersenu (badanie RCT NEURO-TTRansform) i wutrisyranu (badanie RCT HELIOS-A). Badania charakteryzują się umiarkowaną jakością i zostały przeprowadzone na nielicznej grupie pacjentów (ok. 100 w każdym badaniu). Nie wykazano istotnych różnic w skuteczności terapeutycznej leków w zakresie oceny nasilenia neuropatii według skali mNIS+7, stężenia TTR w surowicy w stanie stacjonarnym, oceny ogólnej niepełnosprawności według skali R-ODS, oceny stanu odżywienia według mBMI oraz oceny prędkości chodu według 10-MWT. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic w występowaniu ciężkich zdarzeń niepożądanych, zdarzeń niepożądanych o dużym nasileniu oraz zdarzeń niepożądanych prowadzących do przerwania leczenia. Ze względu na brak porównania bezpośredniego, wnioskowanie o braku różnic ma wartość ograniczoną.

Ze względu na to, że eplontersen został zarejestrowany przez EMA w marcu 2025 roku, a przez amerykańskie FDA w grudniu 2023 roku, rekomendacje z poszczególnych regionów opublikowane przed datą rejestracji leku nie uwzględniają jego zastosowania w zaleceniach. Wytyczne amerykańskie

Karam 2024 wskazują na stosowanie terapii wyciszających ekspresję genu TTR jako leczenie pierwszej linii u pacjentów z ATTRv przebiegającą z polineuropatią, w tym eplontersenu, bez rozróżniania preferencji między poszczególnymi lekami. Zgodnie z wytycznymi eplontersen jest stosowany w monoterapii u pacjentów z hATTR-PN.

Problem ekonomiczny

Według oszacowań wnioskodawcy w wariancie podstawowym, z uwzględnieniem RSS, zastosowanie produktu leczniczego Wainzua w porównaniu z terapią lekiem Amvuttra prowadzi do obniżenia kosztów, generując oszczędności w wysokości [REDACTED] na rok. Wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Wainzua, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej wynosi [REDACTED]. Zdaniem Agencji [REDACTED]

[REDACTED]

Wpływ na budżet płatnika

Przewidywana liczba pacjentów w I i II roku wyniesie odpowiednio [REDACTED] w grupie Wainzua i Amvuttra.

Według oszacowań wnioskodawcy w wariancie z uwzględnieniem RSS, wprowadzenie finansowania produktu leczniczego Wainzua w analizowanym wskazaniu będzie wiązało się z oszczędnościami dla płatnika publicznego wynoszącymi [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy. Natomiast [REDACTED]

[REDACTED] wprowadzenie refundacji dla produktu leczniczego Wainzua będzie [REDACTED].

Rekomendacje refundacyjne

We wnioskowanym wskazaniu Wainzua (eplontersen) jest refundowany w 6 na 30 krajów UE i EFTA. Odnaleziono 3 rekomendacje pozytywne warunkowo tj. brytyjską NICE 2024, kanadyjską CDA-AMC 2024 oraz francuską HAS 2025. Ponadto odnaleziono 2 niemieckie dokumenty IQWiG 2025 oraz GBA 2025, w których wskazano, że dodatkowa korzyść eplontersenu w porównaniu z właściwą terapią porównawczą nie została udowodniona.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wysokiej jakości badań bezpośrednio porównujących skuteczność terapeutyczną i bezpieczeństwo stosowania leku Wainzua względem obecnie dostępnego komparatora;*
- *Dostępność nowoczesnego leczenia w programie lekowym B. 170.;*
- *Wzrost wydatków płatnika publicznego.*

Uwaga do programu lekowego B.170:

Rada proponuje wprowadzenie do programu lekowego zapisu o możliwości leczenia amyloidozy jedynie w monoterapii.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.4131.5.2026 »Wniosek o objęcie refundacją leku Wainzua (eplontersen) w ramach programu lekowego B.170. „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)«”; data ukończenia: 28 kwietnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy AstraZeneca AB.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AstraZeneca AB) 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: AstraZeneca AB.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców Medison Pharma sp. z o.o.

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 79/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego
Veyvondi (wonikog alfa) do programu polityki zdrowotnej
„Narodowy Program Leczenia chorych na Hemofilię
i pokrewne skazy krwotoczne na lata 2024-2028”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie produktu leczniczego:

- *Veyvondi (wonikog alfa), 650 j.m. proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań;*
- *Veyvondi (wonikog alfa), 1300 j.m. proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań;*

do modułu programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia chorych na Hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: zapobieganie i leczenie krwotoków lub krwawień chirurgicznych u osób dorosłych (w wieku 18 lat lub starszych) z 2 i 3 typem choroby Willebranda, u których leczenie samą desmopresyną (DDAVP) jest nieskuteczne lub przeciwwskazane, pod warunkiem obniżenia ceny oraz uwzględnienia w kryteriach włączenia uwag Rady Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena dotyczy zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Veyvondi (wonikog alfa), we wskazaniu: zapobieganie i leczenie krwotoków lub krwawień chirurgicznych u osób dorosłych (w wieku 18 lat lub starszych) z 2 i 3 typem choroby von Willebranda, u których leczenie samą desmopresyną (DDAVP) jest nieskuteczne lub przeciwwskazane, w ramach modułu programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Choroba von Willebranda (ang. von Willebrand disease, VWD) jest najczęściej występującą wrodzoną skazą krwotoczną, występującą u 0,6-1,3% populacji.

Jej przyczyną jest zaburzenie funkcji lub zmniejszenie ilości czynnika von Willebranda (ang. von Willebrand factor, VWF), skutkujące nieprawidłowościami w adhezji płytek krwi do ściany uszkodzonego naczynia krwionośnego, a w konsekwencji – zaburzenia hemostazy pierwotnej. U części chorych pojawia się także zaburzenie hemostazy wtórnej (osoczowej), będące skutkiem wtórnego niedoboru aktywnego czynnika krzepnięcia VIII.

Wyróżnia się trzy typy VWD: typ 1 (65-75% pacjentów, niewielki niedobór VWF przy prawidłowej lub nieco zmniejszonej aktywności FVIII), typ 2 (podtypy: 2A, 2B, 2M i 2N; 20-25% pacjentów, nieproporcjonalnie zmniejszona aktywność VWF w stosunku do jego stężenia) i typ 3 (ciężki; nieoznaczalne stężenie VWF, aktywność FVIII zwykle poniżej 10% prawidłowej). Typy 1 i 2 mają zwykle łagodny lub umiarkowany przebieg. Choroba objawia się krwawieniami z błon śluzowych i skóry (krwawienia z nosa, dziąseł i przewodu pokarmowego, zbyt obfitych i przedłużonych krwawień menstruacyjnych, krwotoków po zabiegach inwazyjnych i porodach, łatwego powstawania podbiegnięć krwawych, a u osób z ciężką VWD (głównie typu 3 i 2N) – wylewów do stawów i mięśni, mogących prowadzić do artropatii).

Leczenie farmakologiczne w VWD obejmuje kontrolę i leczenie krwawień za pomocą desmopresyny (DDAVP; wyłącznie po przejściu testu odpowiedzi na lek), osoczo pochodnych koncentratów FVIII zawierających VWF lub koncentratów rekombinowanego VWF (ang. recombinated von Willebrand factor, rVWF), stosowanych przy poważnych zabiegach chirurgicznych i u osób, u których stosowanie DDAVP jest nieskuteczne lub przeciwwskazane oraz kwasu traneksamowego (TXA; przy krwawieniach z błon śluzowych i wspomagająco do DDAVP i koncentratów).

Technologię alternatywną dla leku Veyvondi we wnioskowanym wskazaniu stanowi produkt Haemate P (koncentrat FVIII zawierający VWF o stosunku FVIII:VWF co najmniej 2:1).

Dowody naukowe

Skuteczność leku Veyvondi w zapobieganiu i leczeniu krwawień u dorosłych pacjentów z VWD została oceniona do tej pory jedynie na podstawie zestawu badań jednoramiennych, obserwacyjnych, przy braku randomizowanych badań klinicznych z aktywnym komparatorem. Dla oceny skuteczności wonikogu alfa vs Haemate P w ramach profilaktyki rutynowej/długoterminowej wykorzystano dane pochodzące z retrospektywnego badania obserwacyjnego typu pre/post – Roberts 2025 oraz prospektywnego badania rejestracyjnego – Leebeek 2022.

Badanie Roberts 2025 dotyczyło pacjentów, u których dokonano zmiany leczenia z osoczo pochodnych koncentratów VWF/FVIII (pdVWF; w 82% Haemate P) na wonikog alfa. W grupie profilaktyki długoterminowej (n=22) wykazano istotną redukcję rocznego wskaźnika krwawień (ABR) ogółem o 53% podczas leczenia wonikogiem alfa w porównaniu z okresem bazowym (średni ABR 1,5 vs 3,2;

$p < 0,001$), przy jednoczesnej redukcji ABR dla krwawień poważnych o 82% (0,2 vs 1,1; $p < 0,001$). Odsetek pacjentów bez jakichkolwiek krwawień wzrósł 10-krotnie (z 4,5% do 45,5%). W zakresie krwawień łagodnych nie wykazano istotnych statystycznie różnic.

Badanie Leebeek 2022 obejmowało 23 dorosłych pacjentów z ciężką postacią VWD (głównie typ 3), u których oceniano profilaktykę wonikogiem alfa w porównaniu z danymi historycznymi. W grupie pacjentów wcześniej leczonych doraźnie ($n=13$), ABR dla wymagających leczenia krwawień spontanicznych (sABR) uległ redukcji o 91,5% (wskaźnik: 0,085; 95%CI: 0,021; 0,346), a 85% pacjentów nie doświadczyło żadnego leczonego krwawienia spontanicznego w trakcie profilaktyki. Wyniki te potwierdzają skuteczność kliniczną wonikogu alfa w redukcji krwawień, szczególnie u chorych przechodzących z leczenia doraźnego na profilaktykę.

W profilaktyce okołozabiegowej skuteczność wonikogu alfa oceniano na podstawie jakościowego zestawienia wyników badania Peyvandi 2019 ($n=15$) z danymi z badań jednoramiennych dla Haemate P (Thompson 2004, Lethagen 2007, Gill 2011). We wszystkich zabiegach chirurgicznych w badaniu Peyvandi 2019 uzyskano 100% ocen dobrej lub doskonałej skuteczności hemostatycznej (95%CI: 89,1; 100), co jest porównywalne z wartościami raportowanymi dla komparatora (91-100%).

W leczeniu doraźnym krwawień skuteczność oceniono poprzez zestawienie wyników badań Gill 2015 (wonikog alfa; $n=37$) oraz Gill 2003 (Haemate P; $n=33$). W badaniu Gill 2015 we wszystkich 192 epizodach krwawień osiągnięto dobrą lub doskonałą skuteczność hemostatyczną (100%; 95%CI: 98,1; 100), natomiast w badaniu Gill 2003 analogiczny odsetek wynosił 98%.

Profil bezpieczeństwa wonikogu alfa oceniany w badaniach klinicznych i obserwacyjnych uznano za akceptowalny. W badaniu rejestracyjnym Leebeek 2022, 74% pacjentów doświadczyło co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego (AEs), przy czym większość miała charakter łagodny lub umiarkowany.

W badaniu Roberts 2025 odsetek przerwania leczenia w profilaktyce długoterminowej wynosił 17%, przy czym zgony odnotowane w trakcie obserwacji nie były związane z wonikogiem alfa ani z VWD.

Dane długoterminowe z badania SHP677-304 oraz analizy post-hoc Susen 2026 potwierdzają utrzymanie korzystnego profilu bezpieczeństwa w obserwacji sięgającej do ok. 3 lat, bez sygnałów immunogenności czy narastającego ryzyka zakrzepowego.

Dane RWE (Sun 2023, Desprez 2021, Laffan 2026a/b, Horvais 2026, TAK-577-4005) wskazują, że wonikog alfa w praktyce klinicznej jest wysoko skuteczny hemostatycznie, głównie w leczeniu doraźnym i okołooperyacyjnym. W badaniach obserwacyjnych raportowano 97-100% ocen dobrej lub doskonałej

kontroli krwawień, przy braku istotnych nowych sygnałów bezpieczeństwa. W specjalnej analizie bezpieczeństwa TAK-577-4005 (na leczenie EMA; n=100) częstość zdarzeń zakrzepowych i reakcji nadwrażliwości była niska (pojedyncze, łagodne przypadki), a nie odnotowano występowania inhibitorów VWF/FVIII.

Kluczowym ograniczeniem przedmiotowej analizy klinicznej jest brak randomizowanych badań klinicznych z bezpośrednim porównaniem z komparatorem – Haemate P, co uniemożliwia wiarygodne wnioskowanie porównawcze. W wielu badaniach wonikog alfa był stosowany w skojarzeniu z FVIII lub lekami przeciwfibrinolitycznymi, co utrudnia jednoznaczne przypisanie efektu klinicznego wyłącznie ocenianej technologii. Nie odnotowano żadnych wyników odnoszących się bezpośrednio do jakości życia pacjentów.

Oceniany lek jest zalecany przez towarzystwa naukowe w leczeniu VWD (NHC 2024, MASAC/NBDF 2021/2024 (USA), ASH ISTH NBDF WFH 2021/2025).

Rada Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych zaproponowała uwzględnienie wśród kryteriów włączenia do leczenia wonikogiem alfa dla pacjentów dorosłych: z VWD typu 2 i 3, u których dotychczasowa terapia była nieskuteczna lub u których wystąpiło uczulenie na osoczo pochodne koncentraty FVIII/VWF; z VWD typu 2 i 3, u których występują krwotoki i krwawienia zagrażające życiu; z VWD typu 2 i 3 wymagających długoterminowej oraz okresowej profilaktyki, w tym profilaktyki w okresie okołozabiegowym.

Problem ekonomiczny

Refundacja leczenia wiąże się ze wzrostem wydatków inkrementalnych dla płatnika publicznego (zakres wielkości kosztów dodatkowych dla NFZ oszacowany w najbardziej prawdopodobnych scenariuszach wynosił 6,12-15,6 mln zł w trzyletnim horyzoncie analizy).

Odnaleziono pięć rekomendacji refundacyjnych odnoszących się do wnioskowanego wskazania, tj. pozytywną francuską HAS 2025 oraz warunkowo pozytywną: kanadyjską CDA-AMC 2021, szwedzką TLV 2020, duńską Medicinrådet 2019 i norweską DMP/Nye Metoder 2019.

Główne argumenty decyzji:

- nie w pełni zaspokojona potrzeba medyczna,
- wysoki profil bezpieczeństwa,
- pozytywne rekomendacje kliniczne oraz refundacyjne,
- wysoki koszt terapii.

Uwaga Rady Przejrzystości

Wskazane doprecyzowanie kryteriów włączenia do leczenia preparatem zgodnie z wytycznymi Rady Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych oraz rozważenie poszerzenia populacji o grupę pacjentów z 1 typem choroby Willebranda.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAP.47.1.2026 „Ocena zasadności włączenia produktu leczniczego Veyvondi (wonikog alfa) do modułu programu polityki zdrowotnej »Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028«”; data ukończenia: 29.04.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 80/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym
B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek
(ICD-10 N18)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w programie lekowym B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (ICD-10 N18)”.

Uzasadnienie

Przewlekła choroba nerek (PChN) to wieloobjawowy zespół chorobowy, spowodowany zmniejszeniem liczby czynnych nefronów. Do rozwoju PChN mogą prowadzić różnorodne procesy chorobowe, zarówno wrodzone jak i nabyte. W leczeniu PChN u dzieci jednym z najbardziej wymagających problemów jest osiągnięcie normalnego wzrostu.

Zaawansowana przewlekła choroba nerek jest stanem obniżonej wrażliwości na hormon wzrostu (GH), charakteryzującym się niedoborem funkcjonalnego insulinopodobnego czynnika wzrostu-1 (IGF-1). Oporność na GH można przezwyciężyć poprzez podawanie przekraczających wartości fizjologiczne dawek rekombinowanego ludzkiego GH, który stymuluje syntezę IGF1, normalizuje aktywność somatomedyny, wspomaga wzrost podłużny i prawdopodobnie poprawia wzrost w wieku dorosłym.

Zgodnie ze zleceniem oceniano następujące zmiany w ramach programu B.38:

1. Modyfikacja kryteriów kwalifikacji do programu, m.in.:

- a. zmiana „klirensu kreatyniny” na „eGFR”;*
- b. w odniesieniu do określenia wysokości ciała dziecka zmiana parametru „odchylenie standardowe (SDS)” na centyle;*
- c. zmiana sposobu określania wieku szkieletowego – zamiast odnoszenia się do norm Greulich’a i Pyle, należy ocenić, czy nasady kości długich uległy zarośnięciu.*
- d. Ponadto, dodanie kryterium włączające do leczenia w programie pacjentów z PCHN w stadium 3-5 lub dializowanych ze wzrostem < 10 centyla i tempem wzrastania < 25 centyla.*

2. Wprowadzenie możliwości zawieszania leczenia pacjenta w ramach programu i późniejsze włączanie go bez konieczności przechodzenia ponownej procedury kwalifikacji do programu.
3. Modyfikacja kryteriów wyłączenia z programu, m.in.: złagodzenie kryterium dotyczącego obecności zaburzeń przemian węglowodanowych, zmieniając je na „niewyrównaną cukrzycę”, a także dodanie 2 nowych kryteriów: pseudo tumor cerebri i złuszczenia nasady kości udowej.
4. Modyfikacja badań wykonywanych podczas kwalifikacji do programu.
5. Modyfikacja badań wykonywanych w ramach monitorowania leczenia, pozostawiając bez zmian częstotliwość monitorowania, tj. co 30 dni w stadium 3-4 choroby, co 90, po 90 dniach i co 365 dni.

Dokonana przez ekspertów całościowa i wieloczynnikowa ocena wpływu wszystkich zmian w programie lekowym B.38 wskazuje na przewidywane zwiększenie populacji pacjentów o łącznie 10,2 – 11,7%.

Analiza wpływu na budżet wykazała, że zaproponowane zmiany w programie lekowym B.38 będą związane z dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego na poziomie 113 tys. zł w I roku oraz 115 tys. zł w II roku analizy (wariant podstawowy prognozy).

W wariantcie minimalnym prognozy, wydatki płatnika publicznego będą kształtować się na poziomie 96 tys. zł w I roku i 98 tys. zł w II roku, natomiast w wariantcie maksymalnym - wydatki płatnika publicznego będą wynosić 130 tys. zł w I roku i 133 tys. zł w II roku.

Główne argumenty decyzji:

- Zmiany ujednolicają i aktualizują zapisy programu lekowego względem wytycznych klinicznych i aktualnej praktyki;
- Pozytywne rekomendacje ekspertów klinicznych;
- Wprowadzone zmiany mają charakter redakcyjny, porządkujący oraz standaryzujący.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAP.4121.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.38 »Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN) (ICD-10 N18)«”; data ukończenia: 6 maja 2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 62/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Kygevvi (doxecitine and doxribtimine) we wskazaniu:
deficyt kinazy tymidynowej 2

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Kygevvi (doxecitine and doxribtimine) proszek do sporządzania roztworu doustnego w saszetce, 2 g + 2 g; we wskazaniu: deficyt kinazy tymidynowej 2.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 05.02.2026, znak PLD.45340.121.2026.1.AD Minister Zdrowia na podstawie art. 39 ust. 3 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) zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Kygevvi (doxecitine and doxribtimine) proszek do sporządzania roztworu doustnego w saszetce, 2 g + 2 g; we wskazaniu: deficyt kinazy tymidynowej 2.

Produkt leczniczy Kygevvi nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Cena wnioskowanego opakowania leku to 16 438,5 \$. Do tej pory lek nie był sprowadzany przez Ministerstwo Zdrowia.

Produkt leczniczy KYGEVVI jest wskazany do stosowania w leczeniu dzieci i dorosłych pacjentów z genetycznie potwierdzonym niedoborem kinazy tymidynowej 2 (TK2d), u których objawy wystąpiły w wieku 12 lat lub wcześniej. Podstawowy mechanizm działania doksecytyny i doksrybtyminy polega na włączaniu nukleozydów deoksycytydyny (dC) i deoksytymidyny (dT) do kwasu deoksyrybonukleinowego (DNA) mitochondriów mięśni szkieletowych w celu przywrócenia liczby kopii mitochondrialnego DNA i poprawy czynności mięśni szkieletowych u pacjentów z TK2d. Doksecytyna i doksrybtymina prawdopodobnie wykorzystują resztkową aktywność TK2, a także szlaki fosforylacji cytozolowej, takie jak kinaza tymidynowa 1 i kinaza deoksycytydynowa, w celu zwiększenia stężenia prekursorów mitochondrialnego DNA, trifosforanu deoksycytydyny i trifosforanu deoksytymidyny w mitochondriach.

Dawkowanie produktu leczniczego KYGEVVI ustala się na podstawie masy ciała pacjenta i indywidualnej tolerancji pacjenta, do maksymalnej zalecanej dawki podtrzymującej wynoszącej 400 mg/kg mc./dobę doksecytyny i 400 mg/kg mc./dobę doksrybtyminy. Produkt leczniczy KYGEVVI należy przyjmować codziennie w 3 równych dawkach podczas posiłku.

Szacuje się, że częstość występowania choroby w postaci miopatycznej wynosi <1 na 1 000 000. Dane z przeglądu piśmiennictwa wskazują, że częstość występowania TK2d może wynosić około 1,64 na 1 000 000 populacji. Badania obserwacyjne sugerują, że większość pacjentów z TK2d stanowią dzieci, a początek choroby najczęściej przypada na wczesne lata życia (zwykle przed 5. rokiem życia, a w wielu przypadkach przed 12. rokiem życia).

Aktualnie nie istnieją alternatywne względem Kygevvii, aktywne sposoby leczenia TK2D. Do niedawna postępowanie w TK2d było ograniczone głównie do leczenia objawowego: wspomaganie oddychania, żywienie dojelitowe oraz rehabilitacja i zaopatrzenie w sprzęt ułatwiający poruszanie się. Obecnie dostępny jest lek Kygevvii (doxecitine/doxribtimine) wskazany w leczeniu pacjentów pediatrycznych i dorosłych z genetycznie potwierdzonym TK2d, u których początek objawów wystąpił ≤12 r.ż. Opieka nadal wymaga podejścia wielodyscyplinarnego i obejmuje monitorowanie oraz leczenie powikłań oddechowych, wsparcie żywieniowe i systematyczną fizjoterapię.

Pozwolenie na dopuszczenie tego produktu leczniczego do obrotu (30.01.2026 r. [EMA/CHMP/384297/2025]) wydano w „wyjątkowych okolicznościach”.

Dowody naukowe

Niedobór kinazy tymidynowej 2 (TK2D, ang. thymidine kinase 2 deficiency), znany również jako „zespół wyczerpania mitochondrialnego DNA, postać miopatyczna” lub „zespół wyczerpania mitochondrialnego DNA typu 2”, jest rzadką chorobą genetyczną, która wpływa głównie na mięśnie. Objawy mogą obejmować osłabienie mięśni o różnym nasileniu, jednak ciężkość, wiek początku oraz tempo postępu choroby są różne u każdego pacjenta. Najczęściej występuje narastające z czasem osłabienie mięśni kończyn górnych i dolnych. Do innych, częstych objawów należą trudności z oddychaniem, osłabienie mięśni gałkoruchowych oraz problemy z żuciem i połykaniem. U niektórych osób objawy mogą być ciężkie już we wczesnym dzieciństwie, podczas gdy u innych choroba postępuje wolniej. TK2D jest spowodowany mutacjami w genie TK2, który odpowiada za prawidłowe funkcjonowanie mitochondriów.

W badaniach rejestracyjnych (Domínguez-González 2025) analiza retrospektywna dokumentacji oraz dalsza obserwacja w otwartym badaniu kontynuacyjnym wskazywały, że leczenie pirymidynowymi nukleozydami/nukleotydami wiąże się z korzystniejszym przebiegiem choroby u pacjentów z TK2d w porównaniu z danymi populacji. W szczególności obserwowano sygnał poprawy w zakresie przeżycia oraz stabilizacji

lub odwracania niekorzystnej trajektorii klinicznej mierzonej utratą i odzyskiwaniem funkcji ruchowych. Równolegle u części pacjentów widoczna była stabilizacja albo zmniejszenie zapotrzebowania na wsparcie oddechowe oraz możliwość ograniczenia wsparcia żywieniowego, co sugerowało korzystny wpływ terapii na funkcje opuszkowe i oddechowe. Profil bezpieczeństwa w tych analizach był zasadniczo akceptowalny, a dominujące działania niepożądane dotyczyły przewodu pokarmowego, zwykle możliwe do opanowania modyfikacją dawki i bez konieczności trwałego odstawienia leczenia, przy jednoczesnym monitorowaniu parametrów wątrobowych.

W badaniu Domínguez-González 2019 wyniki u pacjentów z ciężką postacią o wczesnym początku były lepsze niż w danych historycznych nieleczonych, a u pacjentów z późniejszym początkiem choroby najczęściej obserwowano stabilizację lub poprawę parametrów klinicznych. Zgłaszano odzyskiwanie samodzielnego chodzenia u części chorych, możliwość rezygnacji z żywienia dojelitowego oraz poprawę lub stabilizację w zakresie oddychania, czemu towarzyszyła poprawa w testach/skalach funkcji motorycznych u ocenianych pacjentów oraz spadek podwyższonych wyjściowo biomarkerów (m.in. GDF-15). Najczęstszym działaniem niepożądanym pozostawała biegunka zależna od dawki, natomiast w dodatkowo opisanej grupie pacjentów sporadycznie obserwowano odwracalne podwyższenia enzymów wątrobowych, ustępujące po przerwaniu terapii i mogące nawracać po ponownym włączeniu leczenia.

Problem ekonomiczny

Oceniany produkt leczniczy nie był wcześniej sprowadzany do Polski w ramach importu docelowego. Prognozowane wydatki na finansowanie Kygevi w ramach importu docelowego wynoszą w horyzoncie 2 lat dla 1 pacjenta od 2,8 mln PLN do 11,22 mln PLN (w zależności od masy chorego).

Główne argumenty decyzji:

- *Brak długoterminowych danych z badań klinicznych;*
- *Terapia poza aktualnymi rekomendacjami i wytycznymi klinicznymi;*
- *Wysoki koszt terapii;*

Uwaga Rady

Rada sugeruje złożenie wniosku refundacyjnego dla tego preparatu.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania: nr OTAD.414.1.2026 „Kygeevi (doxectine and doxribtimine) we wskazaniu: deficyt kinazy tymidynowej 2”; data ukończenia: 7 maja 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 81/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
abemacyklib zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną abemacyklib we wskazaniu: leczenie pooperacyjne (adjuwantowe) abemacyklibem w skojarzeniu z hormonoterapią raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu, u dorosłych pacjentów we wczesnym stadium raka piersi wykazującego ekspresję receptora hormonalnego i niewykazującego ekspresji receptora typu 2. dla ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Abemacyklib jest silnym i wybiórczym inhibitorem zależnych od cyklin kinaz typu 4. i 6. (CDK4 i CDK6), a w analizach enzymatycznych najsilniej hamuje cyklinę D1/CDK4. Abemacyklib uniemożliwia fosforylację białka retinoblastomy (ang. retinoblastoma protein, Rb), blokując w cyklu komórkowym przejście od fazy G1 do fazy S podziałów komórkowych, co prowadzi do zahamowania rozrostu guza.

Aktualnie zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 17 marca 2026 r. w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2026 r. w Polsce finansowany jest 1 produkt leczniczy zawierający abemacyklib (Verzenios w 3 dawkach, tj. 50, 100 i 150 mg) we wskazaniach zarejestrowanych:

- w leczeniu przerzutowego lub miejscowo zaawansowanego (gdy radykalne leczenie miejscowe jest nieskuteczne lub niemożliwe do zastosowania) raka piersi;*
- w leczeniu pooperacyjnym (adjuwantowym) w skojarzeniu z hormonoterapią HR+, HER2-ujemnego raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu określonym klinicznie lub patomorfologicznie.*

Niniejsza opinia dotyczy rozszerzenia populacji refundacyjnej drugiego wskazania.

Alternatywną refundowaną technologię medyczną stosowaną w analizowanym wskazaniu stanowi rybocyklib w skojarzeniu z inhibitorem aromatazy. Ponadto w sytuacji, gdy zastosowanie inhibitora CDK 4/6 nie jest możliwe, podstawową opcją terapeutyczną jest hormonoterapia. Zgodnie z aktualnymi zaleceniami praktyki klinicznej w takich przypadkach stosuje się inhibitory aromatazy, zarówno niesteroidowe (letrozol, anastrozol), jak i steroidowy (eksemestan), a także tamoksyfen. W omawianym wskazaniu refundacją w Polsce objęte są letrozol, anastrozol oraz tamoksyfen.

W zleceniu MZ zawarto dodatkową prośbę o zajęcie stanowiska w sprawie zasadności ujednolicenia zapisów dla obu cyklibów (abemacyklibu i rybocyklibu) w kolumnie 2, pkt 1.2 „Leczenie wczesnego HR-dodatniego, HER2-ujemnego raka piersi”, w szczególności w zakresie zapisu: „Rozpoczęcie terapii abemacyklibem albo rybocyklibem powinno mieć miejsce nie później niż 12 miesięcy od rozpoczęcia hormonoterapii neoadjuwantowej lub uzupełniającej (po radykalnym leczeniu operacyjnym)”.

Dowody naukowe

Odnaleziono 1 badanie rejestracyjne RCT III fazy: monarchE, w którym oceniano skuteczność i bezpieczeństwo abemacyklibu stosowanego jako terapia adjuwantowa w leczeniu HR+/HER- wczesnego raka piersi. Kohorta nr 2 z tego badania obejmuje część wnioskowanej populacji off-label.

Nie odnaleziono żadnych dowodów dotyczących oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania abemacyklibu w populacji pacjentów z HR+/HER- wczesnym rakiem piersi, bez zajętych węzłów chłonnych. Nie odnaleziono żadnych opracowań wtórnych dotyczących oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania abemacyklibu we wnioskowanej populacji off-label.

Wszystkie dotychczas opublikowane wyniki dla kohorty 2 z badania monarchE były niedojrzałe. Nie wykazano IS różnic dla żadnego z ocenianych punktów końcowych. Dane dla najdłuższego okresu obserwacji pochodzą z publikacji Johnston 2026 (mediana okresu obserwacji: 6,3 lat):

Kohorta 2.: Wyniki nieistotne statystycznie

- OS: 15/253 (5,9%) w ABEMA + HTH vs 16/264 (6,1%) w HTH; HR=0,966 (95%CI: 0,468; 1,992), p=0,92463.
- IDFS: trend liczbowo korzystny dla ABEMA + HTH vs HTH; HR=0,797 (95% CI: 0,508; 1,252), p=0,32478.
- DRFS: trend liczbowo korzystny dla ABEMA + HTH vs HTH; HR=0,902 (95% CI: 0,541; 1,505), p=0,69293.

Dodatkowo w publikacji Royce 2022, w której przedstawiono podsumowanie decyzji rejestracyjnej FDA dla stosowania abemacyklibu u pacjentów z wczesnym rakiem piersi wskazano, iż u pacjentów leczonych abemacyklibem w skojarzeniu

z HTH występowało więcej działań niepożądanych niż u pacjentów leczonych wyłącznie HTH. Na podstawie aktualnych danych dostępnych do oceny nie uznano, aby to dodatkowe ryzyko związane z działaniami niepożądanymi było uzasadnione w przypadku pacjentów z kohorty 2.

W badaniu monarchE poważne działania niepożądane bez względu na przyczynę były zgłaszane w odniesieniu do wszystkich pacjentów, którzy rozpoczęli fazę follow-up. Wyższe wskaźniki zaobserwowano w grupie HTH (7,3%) w porównaniu z ABEMA+HTH (6,5%) głównie z powodu większej liczby zakażeń i zaburzeń żołądkowo-jelitowych w ramieniu HT. Ogólnie stosowanie ABEMA+HTH w porównaniu do HTH wiązało się z niekorzystnym profilem bezpieczeństwa w ramach wszystkich zdarzeń niepożądanych, które wystąpiły u co najmniej 15% uczestników badania, z wyjątkiem bólu stawów oraz uderzeń gorąca, gdzie odnotowano istotą statystycznie mniejszą szansę na wystąpienie zdarzenia niepożądanego. Szansa na wystąpienie dowolnego AE była ponad 7-krotnie większa w grupie pacjentów stosujących ABEMA+HTH, gdzie wystąpiły niemal u wszystkich pacjentów w porównaniu do grupy kontrolnej (HTH: 89%), różnice obserwowane między porównywanymi grupami były istotne statystycznie [OR=7,65 (95% CI: (5,57; 10,51), NNH=10,49]. W przypadku występowania AEs 3. stopnia nasilenia również odnotowano istotną statystycznie ponad 4-krotnie większą szansę u pacjentów otrzymujących ABEMA+HTH vs HTH (OR=4,62 (95% CI: 4,07; 5,24) NNH=3,28].

Warto także zwrócić uwagę na znacznie częstsze występowanie biegunek (w tym o nasileniu 3. stopnia) u pacjentów stosujących ABEMA. Wykazano ponad 50-krotnie większą szansę wystąpienia biegunki, a podanie ABEMA 13 pacjentom związane było z 10 dodatkowymi pacjentami, u których wystąpił objaw. Również w przypadku biegunki o 3. stopniu nasilenia, stosowanie ABEMA+HTH wiązało się z niemal 40-krotnie większą szansą na wystąpienie zdarzenia w porównaniu do terapii HTH. Należy mieć na uwadze, iż w początkowym etapie stosowania ABEMA występujące biegunki o wyższych stopniach nasilenia wymagały leczenia, a także redukcji lub wstrzymania dawki ABEMA.

Wytyczne kliniczne

W wyniku wyszukiwania włączono następujące dokumenty opisujące wytyczne: NCCN 2025 – edycja polska, NCCN 2026, ASCO 2024, ESMO 2024, NICE 2025. We wszystkich wskazano, że podstawą leczenia adjuwantowego u chorych na HR+/HER2- raka piersi jest hormonoterapia (HTH), a u części chorych, w zależności od ryzyka nawrotu, stosuje się również chemioterapię.

Abemacyklib w leczeniu adjuwantowym jest rekomendowany do rozważenia jako intensyfikacja terapii u pacjentek z HR+/HER2- wczesnym rakiem piersi o wysokim ryzyku nawrotu: w NCCN (2-letnie leczenie w skojarzeniu z HTH u chorych wysokiego ryzyka), w ASCO (2 lata + HTH ≥ 5 lat u pacjentek

spełniających kryteria populacji ITT monarchE), w ESMO (do rozważenia przez 2 lata + HTH u chorych ze stadium III lub wysokiego ryzyka stadium II) oraz w NICE (abemacyklib + HTH jako opcja u pacjentek z zajęтыми węzłami chłonnymi, o wysokim ryzyku).

Pozostałe elementy postępowania wymieniane w opisanych wytycznych obejmują: rybocyklib (adjuwantowo w określonych populacjach ryzyka), wykorzystanie 21-genowego testu RT-PCR do wsparcia decyzji o chemioterapii (NCCN 2025: „rozważyć w przypadku dostępności”; NCCN 2026: „stanowczo rozważyć”), a także olaparyb u pacjentów z mutacją gBRCA1/2m oraz bisfosfoniany u kobiet bez czynności jajników (ESMO).

Dodatkowo w ramach wyszukiwania odnaleziono również rekomendacje dotyczące szczegółów stosowania inhibitorów CDK4/6 w ramach terapii adjuwantowej wczesnego raka piersi [O’Keefe 2024 i Jerzak 2025]. Ich treść jest zgodna z opisanymi wytycznymi.

W żadnym z dokumentów nie przedstawiono zaleceń dla stosowania abemacyklibu w ramach ocenianego wskazania off-label.

W zakresie oceny zasadności ujednolicenia zapisów dla obu cyklibów (abemacyklibu i rybocyklibu), w szczególności w zakresie zapisu: „Rozpoczęcie terapii abemacyklibem albo rybocyklibem powinno mieć miejsce nie później niż 12 miesięcy od rozpoczęcia hormonoterapii neoadjuwantowej lub uzupełniającej (po radykalnym leczeniu operacyjnym)”, w żadnej z odnalezionych publikacji nie przedstawiono informacji na temat rozpoczęcia terapii abemacyklibem nie później niż 12 miesięcy od rozpoczęcia hormonoterapii neoadjuwantowej lub uzupełniającej (po radykalnym leczeniu operacyjnym) – czyli zgodnie z aktualnymi warunkami stosowania rybocyklibu. W badaniu monarchE terapię abemacyklibem rozpoczynano nie później niż 3 miesiące od rozpoczęcia hormonoterapii neoadjuwantowej lub uzupełniającej (po radykalnym leczeniu operacyjnym).

Główne argumenty decyzji:

- Niedojrzałe wyniki badań pokazują brak IS różnic dla każdego z ocenianych punktów końcowych przy zastosowaniu terapii abemacyklibem w porównaniu z hormonoterapią;
- Brak wytycznych klinicznych dla stosowania abemacyklibu w ramach ocenianego wskazania off-label;
- Niekorzystny profil bezpieczeństwa abemacyklibu;
- Brak uzasadnienia merytorycznego dla ujednolicenia zapisów dla abemacyklibu i rybocyklibu.

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.415.3.2026 „Abemacyklib we wskazaniu: leczenie pooperacyjne (adjuwantowe) abemacyklibem w skojarzeniu z hormonoterapią raka piersi z wysokim ryzykiem nawrotu, u dorosłych pacjentów we wczesnym stadium raka piersi wykazującego ekspresję receptora hormonalnego i niewykazującego ekspresji receptora typu 2. dla ludzkiego naskórkowego czynnika wzrostu”; data ukończenia: 7 maja 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 82/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej województwa
mazowieckiego w zakresie przeciwdziałania zespołowi stresu
pourazowego (PTSD)”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej województwa mazowieckiego w zakresie przeciwdziałania zespołowi stresu pourazowego (PTSD)”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest PPZ zaplanowany do realizacji przez woj. mazowieckie. W ramach programu zaplanowano realizację działań takich jak:

- psychoedukacja (obowiązkowa dla wszystkich uczestników 2-6 spotkań, 12 godzin/ 2x45 min) w formie wykładów połączonych z warsztatami w grupach 5-12 osób;*
- badania przesiewowe w kierunku PTSD przy wykorzystaniu narzędzi takich jak: PTSD-Checklist (PCL-5) oraz Skali Oceny Ryzyka Samobójstwa z Uniwersytetu Columbia (dla chętnych);*
- sesje terapeutyczne (12 sesji terapeutycznych oraz 1 podsumowująca, max 20 sesji na uczestnika);*
- superwizje dla terapeutów (1 superwizja w miesiącu indywidualna lub grupowa dla psychoterapeutów, którzy przeprowadzili już m.in. jedną sesję terapeutyczną w ramach programu.*

Program będzie skierowany do trzech grup.

1. Grupę I stanowią będą m.in.:

- Strażacy (PSP i OSP);*
- Personel medyczny (ratownicy medyczni, pielęgniarze, pielęgniarki, lekarze oraz pracownicy socjalni).*

2. Grupę II będą stanowić ofiary przestępstw, wypadków drogowych, klęsk żywiołowych, konfliktów zbrojnych.

3. Grupę III stanowią będą pozostali pełnoletni mieszkańcy woj. mazowieckiego.

Łącznie ze wszystkich grup ok. 399 lub 698 osób.

Czas realizacji programu - 2026-2028.

Budżet programu – 2 000 000 zł (2026 – 280 000 zł, 2027 – 1 200 000 zł, 2028 – 520 000 zł) ze środków własnych województwa.

Koszt uczestnictwa we wszystkich interwencjach na uczestnika wynosi 4 911 zł/os (obowiązkowych i dodatkowych). W razie braku zainteresowania udziałem w programie mieszkańców Mazowsza budżet programu może być zmniejszony. Głównym założeniem projektu jest podniesienie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy na temat PTSD wśród 70% osób uczestniczących w programie. Cel wydaje się możliwy do realizacji ze względu na zaplanowane działania edukacyjne.

Świadczenia gwarantowane obejmują opiekę nad osobami z rozpoznaniem zaburzeń psychicznych zgodnie z obowiązującą klasyfikacją ICD-10, przy czym ICD-11 znajduje się w fazie wdrożenia w polskim systemie ochrony zdrowia. Do tej grupy należą m.in. zaburzenia z kategorii 6B40-6B42 – zaburzenie związane ze stresem, w tym zespół stresu pourazowego (PTSD).

Eksperci kliniczni są zgodni co do potrzeby finansowania programu w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego.

Agencja opiniowała projekt Programu woj. mazowieckiego p.n. Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z woj. mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021. Prezes Agencji wydał negatywną opinię nr. 42/2019 z dn. 29 marca 2019 r.

W ocenianym PPZ nie uwzględniono następującej uwagi z opinii Prezesa Agencji:

- w treści projektu nie opisano działań informacyjno-promocyjnych.

Pozostałe uwagi zostały uwzględnione.

Główne argumenty decyzji:

- Wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia do podanej wartości docelowej;
- Przy mierniku nr 2 wskazano wartość docelową na poziomie min. 70%, natomiast w odpowiadającym mu celu szczegółowym wskazano na wartość docelową 65%;
- W treści projektu wnioskodawca nie oszacował populacji docelowej kwalifikującej się do programu. Nie wskazano liczby osób, które zostaną objęte PPZ;
- Nie wiadomo na jakiej podstawie zostały przedstawione w budżecie założenia dotyczące objęcia programu 100% lub 50% uczestników;
- Wnioskodawca zdawkowo opisał supervizję dla psychoterapeutów biorących udział w programie;
- Program nie zawiera opisu sposobu informowania o możliwości w jego udziale;

- *Jeden ze wskaźników monitorowania odnosi się bardziej do ewaluacji;*
- *Nie przedstawiono szacunku dotyczącego możliwej ilości planowanych superwizji oraz szacowanych kosztów całkowitych przeznaczonych na to działanie.*

Uwaga Rady

W sytuacji, gdy zespół stresu pourazowego wynika z wykonywanego zawodu, opieka medyczna powinna być organizowana przez pracodawcę.

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.451.22.2026 „Program polityki zdrowotnej województwa mazowieckiego w zakresie przeciwdziałania zespołowi stresu pourazowego (PTSD)”; data ukończenia: maj 2026 oraz raportu nr: OT.441.12.2019 pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie wsparcia ratowników medycznych z województwa mazowieckiego w związku z narażeniem na zespół stresu pourazowego na lata 2019-2021” ze stycznia 2019 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 83/2026 z dnia 11 maja 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej
w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku wśród
dzieci w Łodzi pn. »Widzę lepiej«”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w Łodzi pn. »Widzę lepiej«”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Łódź: Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w Łodzi pn. „Widzę lepiej”. Lata realizacji PPZ: 2026-2028. Całkowity koszt PPZ został oszacowany na 515 000 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu Miasta Łódź.

Celem głównym programu jest: Zwiększenie w trakcie trwania programu o co najmniej 5% odsetka dzieci – uczniów klas drugich publicznych szkół podstawowych na terenie Łodzi, u których wykryto wady wzroku wymagające korekty lub dalszej diagnostyki w ramach NFZ. Projekt przewiduje także 1 cel szczegółowy.

Program będzie skierowany do dzieci uczęszczających do klas II publicznych szkół podstawowych na terenie Miasta Łodzi. Jak wskazał wnioskodawca - wybór tej grupy wiekowej wynika z rekomendacji ekspertów Polskiego Towarzystwa Okulistycznego oraz Polskiego Towarzystwa Pediatrycznego w sprawie przesiewowych badań wzroku u dzieci. Według danych Wydziału Edukacji Urzędu Miasta Łodzi w roku szkolnym 2025/2026 do klas II łódzkich publicznych szkół podstawowych uczęszcza 5 340 dzieci. Wnioskodawca przyjął zgłaszalność do programu w zakresie działań diagnostycznych na poziomie co najmniej 60% ww. liczby (w całym okresie realizacji PPZ - ok. 6 210 dzieci). W odniesieniu zaś do działań edukacyjnych uczniów przewiduje się objęcie tymi działaniami ok. 10 000 dzieci w całym okresie trwania PPZ. Działania edukacyjne skierowane będą również do nauczycieli uczniów klas drugich. Oszacowano, że w każdym roku będzie to ok. 100 nauczycieli. Adresatami działań edukacyjnych będą również rodzice/opiekunowie uczniów II klas łódzkich szkół podstawowych. Oszacowano, że w każdym roku realizacji programu będzie to ok. 5.000 osób.

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada:

- *Działania informacyjno-edukacyjne adresowane do rodziców/opiekunów dzieci. Realizowane będą głównie na terenie szkół, w których prowadzone będą badania przesiewowe wzroku u dzieci. Działania edukacyjne będą prowadzone głównie w formie materiałów informacyjno-edukacyjnych, w tym plakatów oraz ulotek. Dodatkowo przewidziano wykorzystanie kanałów elektronicznych do dystrybucji treści edukacyjnych (Internet, za pośrednictwem dziennika elektronicznego). W projekcie zaplanowano również weryfikację poziomu wiedzy rodziców/opiekunów prawnych przy pomocy post-testu.*
- *Działania edukacyjne skierowane do nauczycieli/wychowawców uczniów klas II, którzy zostaną zaangażowani w realizację programu, co jednak wymaga uprzednio zwiększenia własnej wiedzy na temat wad wzroku u dzieci. W trakcie spotkań z rodzicami nauczyciele prześlą informacje dotyczące programu, udostępnią materiały edukacyjne oraz będą odpowiedzialni za dystrybucję i zbieranie zgód na udział dzieci w badaniach diagnostycznych realizowanych w ramach programu. Drugim obszarem będzie prowadzenie działań edukacyjnych skierowanych bezpośrednio do uczniów klas drugich. Nauczyciele przeprowadzą pogadanki dotyczące problemów ze wzrokiem oraz zachowań sprzyjających jego ochronie. Zajęcia te będą realizowane w oparciu o materiały dydaktyczne przygotowane przez organizatora programu (Urząd Miasta Łodzi). Materiały te zostaną opracowane przez lekarza okulistę.*
- *Działania edukacyjne skierowane do uczniów. Realizowane będą w formie pogadarek prowadzonych na terenie szkół przez nauczycieli. Zakres tematyczny edukacji obejmować będzie m.in. zagadnienia związane z rodzajami wad wzroku, czynnikami ryzyka ich wystąpienia, metodami diagnostyki, a także możliwościami leczenia i korekcji zaburzeń widzenia. Przed rozpoczęciem pogadanki oraz po jej zakończeniu nauczyciel przeprowadzi krótki sprawdzian wiedzy w formie ustnych pytań, na które uczniowie będą odpowiadać poprzez podniesienie ręki.*
- *Badanie przesiewowe wzroku u dziecka, które, na terenie szkoły, przeprowadzi lekarz okulista lub optometrysta. Wnioskodawca przewidział następujące badania: badanie ostrości wzroku przy użyciu przenośnych tablic, ocenę widzenia barw (test Ishikary), test Hirschberga, test cover/uncover, badanie ostrości wzroku przy użyciu autorefraktometru pod kątem doboru korekcji okularowej.*

Dziecko zakończy udział w programie po wykonaniu badania przesiewowego i otrzymaniu informacji o jego wyniku. W przypadku stwierdzenia wady wzroku lub podejrzenia wady wzroku rodzice/opiekunowie dziecka otrzymają informacje

o stwierdzonych wadach i zalecenia dotyczące dalszego postępowania, wraz z informacją gdzie mogą skorzystać z leczenia w ramach finansowania przez NFZ. Rodzice/opiekunowie dziecka mogą w każdym momencie zdecydować o zakończeniu udziału dziecka w programie. Udział dziecka w programie, pomimo wyrażonej zgody rodzica/opiekuna, może zostać zakończony ze względu na wyczerpanie się puli badań.

Projekt zakłada przeprowadzenie akcji informacyjnej o programie.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że dotyczy on problemu zdrowotnego, jakim są wady wzroku u dzieci.

Według Światowej Organizacji Zdrowia, na świecie co najmniej 2,2 miliarda ludzi ma upośledzone widzenie z powodu niewyrównanych wad wzroku. U co najmniej 1 miliarda z nich upośledzeniu wzroku można byłoby zapobiec. Głównymi przyczynami upośledzenia wzroku i ślepoty na świecie są m.in. wady refrakcji. Problem ten dotyczy również w znacznym stopniu populacji dzieci. Nadwzroczność jest najczęściej diagnozowaną wadą wzroku u małych dzieci, w wieku przedszkolnym występuje z częstością 14%.

Proces rozwoju widzenia u dziecka jest dynamiczny, a najważniejszy, krytyczny okres, przypada na pierwsze dwa lata życia. W przeciwieństwie do osób dorosłych, dzieci z jednostronnym, jak również z obustronnym upośledzeniem widzenia, mogą dobrze funkcjonować oraz nie sygnalizować zaburzeń w tym zakresie. Nieprawidłowości narządu wzroku u dzieci najczęściej pozostają przez długi czas bezobjawowe. Główną przyczyną zaburzeń widzenia w dzieciństwie są wady refrakcji, odpowiedzialne za 56-94% przypadków niedowidzenia. Rodzaj wady wzroku występującej u dzieci jest związany z wiekiem. Wśród niemowląt przeważa nadwzroczność, stopniowo zmniejszająca się, aż do osiągnięcia normowzroczności. Wczesne osiągnięcie normowzroczności jest czynnikiem ryzyka rozwoju krótkowzroczności. W zależności od rodzaju wady refrakcji i wieku w jakim występuje, powstają różnego rodzaju utrudnienia funkcjonowania i rozwoju ogólnego. Niewyrównane wady refrakcji mogą powodować u dzieci i młodzieży opóźnienia rozwojowe, problemy społeczne, zaburzenia w orientacji przestrzennej, a także słabsze wyniki w nauce.

Należy zaznaczyć, że pomimo braku wystarczającej liczby odpowiedniej jakości dowodów wskazujących na zasadność prowadzenia badań przesiewowych wzroku wśród dzieci, niektóre towarzystwa naukowe, a także eksperci kliniczni, zalecają przeprowadzanie programów z zakresu profilaktyki wad wzroku w populacji pediatrycznej. Rekomendacje dot. wieku w jakim powinno się wykonywać badania przesiewowe są jednak bardzo zróżnicowane, niemniej zaplanowana przez wnioskodawcę populacja (dzieci w wieku 7-8 lat) znajduje odzwierciedlenie w części rekomendacji. Badania zaproponowane przez wnioskodawcę również znajdują odzwierciedlenie w rekomendacjach.

Świadczenia w zakresie diagnostyki i leczenia wad wzroku u dzieci są finansowane ze środków publicznych, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 września 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej oraz rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Zaproponowane w PPZ badania diagnostyczne nie wykraczają poza zakres świadczeń gwarantowanych.

W ocenie wnioskodawcy program ma stanowić uzupełnienie świadczeń gwarantowanych, finansowanych ze środków publicznych.

W mieście Łódź funkcjonuje 7 podmiotów leczniczych realizujących umowy z NFZ na świadczenia w zakresie okulistyki dla dzieci.

Główne argumenty decyzji:

- Nie przedstawiono właściwego uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej celu głównego i uzasadnienia dla celu szczegółowego.
- W projekcie nie przewidziano celów szczegółowych dla wszystkich działań opisanych w PPZ.
- Mierniki efektywności zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy.
- Zaproponowany test wiedzy dla rodziców, ze względu na niski poziom trudności, brak walidacji oraz ograniczony zakres merytoryczny, może uniemożliwić obiektywny pomiar poziomu wiedzy.
- Działania przewidziane w programie jako „działania edukacyjne” mają charakter głównie informacyjny.
- Działania zaplanowane w projekcie określone jako „działania edukacyjne skierowane do nauczycieli/wychowawców uczniów klas II” nie przewidują komponentu edukacyjnego skierowanego do tej grupy.
- Zaproponowana forma weryfikacji wiedzy u dzieci, w formie ustnych pytań, na które uczniowie będą odpowiadać poprzez podniesienie ręki, budzi wątpliwości.
- Wątpliwość budzi fakt prowadzenia pogadanek przez nauczycieli bez odpowiedniego przygotowania.
- PPZ nie przewiduje zabezpieczenia w celu uniknięcia podwójnego finansowania świadczeń.
- W mapach potrzeb zdrowotnych wskaźnik dostępności do procedur na tle innych województw wyróżnia się pozytywnie.

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.451.21.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnego wykrywania wad wzroku wśród dzieci w Łodzi pn. »Widzę lepiej«”; data ukończenia: maj 2026 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.