



DOR.001.17.2026.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 22/2026
w dniu 25 maja 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 9:59.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Robert Bryzek
4. Anna Czerniecka-Kubicka
5. Małgorzata Dziedziak
6. Katarzyna Galas
7. Roman Junik
8. Marcin Kołakowski
9. Zbigniew Siudak
10. Małgorzata Sznitowska

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu TLI na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez MZ:
 - 1) Augtyro (repotrektynib) w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP);
 - 2) Duvyzat (giwinostat) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami;
 - 3) Ezmekly (mirdametynib) w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych (ang. plexiform neurofibromas, PN) u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1 (NF1);
 - 4) Maapliv (roztwór aminokwasów niezawierających BCAA) w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów

niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA);

5) Sephience (sepiapteryna) w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenylketonurią (PKU);

6) Tryngolza (olezarsen) do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS);

7) Voranigo (worasydenib) w monoterapii, w leczeniu gwiaździaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszej, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, 2 u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii;

8) Vyjuvek (beremagene geperpawek) w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia;

9) Ziihera (zanidatamab) w monoterapii, w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego.

3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Powiatowe Centrum Zdrowia jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Dupixent (dupilumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP) (ICD-10: J44)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Zilbrysa (zilucoplanum) w ramach programu lekowego B.157. „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program w zakresie szczepień przeciw krztuścowi w gminie Ożarów Mazowiecki na rok 2026”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Wczesno wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nęcza”.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z 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 zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Powiatowe Centrum Zdrowia jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu TLI na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez MZ:
 - 1) Augtyro (repotrektytib) w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP);
 - 2) Duvyzat (giwinostat) w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami;
 - 3) Ezmekly (mirdametynib) w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych (ang. plexiform neurofibromas, PN) u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1 (NF1);
 - 4) Maapliv (roztwór aminokwasów niezawierających BCAA) w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA);
 - 5) Sephience (sepiapteryna) w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenylketonurią (PKU);
 - 6) Tryngolza (olezarsen) do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS);
 - 7) Voranigo (worasydenib) w monoterapii, w leczeniu gwiaździaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszej, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, 2 u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii;
 - 8) Vyjuvek (beremagene geperpawek) w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia;
 - 9) Ziihera (zanidatamab) w monoterapii, w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Dupixent (dupilumabum) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP) (ICD-10: J44)”.

5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Zilbryśq (zilucoplanum) w ramach programu lekowego B.157. „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”.

6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program w zakresie szczepień przeciw krztuścowi w gminie Ożarów Mazowiecki na rok 2026”.

7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Wczesno wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”.

8. Zakończenie posiedzenia.

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

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. świadczenia opieki zdrowotnej Powiatowe Centrum Zdrowia.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Artur Bachta, Marcin Kołakowski, Katarzyna Galas, Małgorzata Dziedziak, Zbigniew Siudak i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Katarzyna Galas i Zbigniew Siudak.

W dalszej dyskusji Rady i doprecyzowaniu treści uchwały udział wzięli: Roman Junik, Katarzyna Galas, Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (10 osób obecnych) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitycy Agencji podsumowali kluczowe dane z raportów dot. technologii lekowych innowacyjnych (TLI).

Projekt opinii Rady przygotowały Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak, a przedstawiła Małgorzata Bała.

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

Katarzyna Galas i Zbigniew Siudak opuścili posiedzenie.

Ad 4. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Dupixent.

Głos zabrały Małgorzata Bała i Małgorzata Sznitowska.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Małgorzata Sznitowska i Roman Junik.

Prowadząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji streścił raport dot. leku Zilbrysq.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Artur Bachta i Marcin Kołakowski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej z zakresu profilaktyki krztuśca (Ożarów Mazowiecki).

W dyskusji głos zabrali: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Artur Bachta.

Projekt opinii Rady przedstawił Robert Bryzek.

Prowadząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej pn. „Wczesno wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”.

Projekt opinii Rady przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada jednogłośnie (8 osób obecnych) uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 14:19.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 67/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Powiatowe Centrum Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Powiatowe Centrum Zdrowia” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem oceny Rady jest włączenie do wykazu świadczeń gwarantowanych nowego zakresu świadczeń zdrowotnych realizowanych w ramach modelu pn. „Powiatowe Centrum Zdrowia” (PCZ), jako alternatywnego rozwiązania organizacyjnego w obszarze zapewnienia świadczeń doraźnych.

Warunkiem realizacji świadczeń w ramach PCZ jest brak na terenie danego powiatu dostępu do świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, a najbliższy świadczeniodawca udzielający świadczeń w tym zakresie znajduje się w odległości przekraczającej 30 km mierzonej ciągiem dróg publicznych.

Świadczenia gwarantowane realizowane w PCZ miałyby objąć:

- 1) porady specjalistyczne;*
- 2) badania diagnostyczne;*
- 3) procedury zabiegowe ambulatoryjne;*
- 5) inne świadczenia ambulatoryjne;*
- 6) porady pielęgniarские.*

Ponadto, świadczeniodawca udzielający świadczeń gwarantowanych z zakresu PCZ, zapewni dostęp do środka transportu sanitarnego, z uwzględnieniem wskazań medycznych i ciągłości postępowania, a w przypadkach uzasadnionych medycznie dostęp do opieki lekarskiej porównywalnej z udzielaną przez specjalistyczny zespół ratownictwa medycznego.

W zakresie koniecznym do udzielania świadczeń gwarantowanych świadczeniodawca zapewnia świadczeniobiorcy nieodpłatnie badania diagnostyczne, leki i wyroby medyczne.

Świadczeniodawca zapewni całodobowo przez wszystkie dni tygodnia świadczenia gwarantowane, o których mowa powyżej oraz transport sanitarny.

Planuje się, że świadczenia gwarantowane udzielane w PCZ obejmą podstawowe świadczenia chirurgiczne, w szczególności drobne zabiegi niewymagające znieczulenia ogólnego oraz zapewnienie konsultacji lekarza specjalisty w dziedzinie chorób wewnętrznych, a także dostęp łóżek zapewniających opiekę w przypadku poddania pacjenta kilkugodzinnej obserwacji.

Świadczenia te dedykowane są pacjentom w stanach nagłych, którzy ze względu na stan zdrowia, wymagają niezwłocznego podjęcia czynności związanych z diagnostyką i leczeniem, a które nie mogą być zrealizowane w tym czasie przez świadczeniodawców udzielających świadczeń w innych zakresach.

Szacuje się, że uruchomienie PCZ umożliwi zabezpieczenie świadczeń gwarantowanych w miejscach, gdzie dostęp do nich jest najślabszy, dla ok. 500 000 świadczeniobiorców. Ponadto, zakłada się, że możliwość realizacji nowego zakresu świadczeń zdrowotnych obejmie maksymalnie 30 świadczeniodawców, z 30 powiatów.

PCZ jako personel wyszczególnia pielęgniarkę i lekarza, przy czym obligatoryjnie lekarza chirurga lub w trakcie specjalizacji oraz chirurga dziecięcego.

Zakres świadczeń gwarantowanych realizowanych w ramach PCZ ma obejmować:

- poradę specjalistyczną;
- poradę pielęgniarską polegającą na:
 - przeprowadzeniu wywiadu;
 - wykonaniu podstawowych pomiarów życiowych i ich ocenę;
 - wykonaniu badania fizykalnego;
 - ordynacji określonych wyrobów medycznych, w tym wystawianie na nie zlecenia albo recepty;
 - ordynacji leków zawierających określone substancje czynne, w tym wystawianie na nie recepty, z wyłączeniem leków zawierających substancje bardzo silnie działające, środki odurzające i substancje psychotropowe;
 - przekazaniu informacji o możliwości doboru sposobów leczenia ran;
 - opatrzeniu ran;
 - prowadzeniu dokumentacji medycznej związanej z doborem sposobów leczenia ran;
 - wydaniu informacji o wystawionych zaleceniach;
- diagnostykę laboratoryjną - w zależności od potrzeb;

- 250 świadczeń diagnostyczno-leczniczych scharakteryzowanych procedurami według kodów ICD-9 (w tym m.in. badania USG i RTG).

Ustawą z dnia 5 sierpnia 2025 r. o zmianie ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych oraz ustawy o działalności leczniczej wprowadzono nowy zakres świadczeń obejmujący świadczenia opieki zdrowotnej udzielane w PCZ – określony w art. 15 ust. 2 pkt 2a ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych. W konsekwencji szczegółowe określenie zakresu tych świadczeń oraz warunków ich realizacji wymaga wydania przepisów wykonawczych.

Przedmiotem stanowiska Rady jest zatem ocena proponowanego zakresu świadczeń oraz warunków ich realizacji, nie zaś sama koncepcja PCZ.

W zakresie dostępności świadczeń należy wskazać, że w 2024 r. 32 powiaty (spośród 380, tj. ok. 8%) pozostawały bez zabezpieczenia w zakresie SOR lub IP.

Z przeprowadzonej przez Agencję wstępnej analizy potencjału dedykowanego do realizacji świadczeń w PCZ, w odniesieniu do dostępności kadr medycznych wynika istotne zróżnicowanie potencjału kadrowego pomiędzy analizowanymi powiatami pozbawionymi dostępu do świadczeń z zakresu Szpitalnego Oddziału Ratunkowego (SOR) lub Izby Przyjęć (IP). Spośród 32 analizowanych powiatów:

- w 7 powiatach odnotowano wysoki potencjał realizacji świadczeń;
- w 4 powiatach - umiarkowany potencjał;
- w 15 powiatach - ograniczony potencjał;
- w 6 powiatach wykazywano niski potencjał realizacji świadczeń.

Najczęściej identyfikowane ograniczenia dotyczyły dostępności lekarzy specjalistów w dziedzinie chirurgii ogólnej oraz chirurgii dziecięcej. W 6 powiatach nie wykazywano lekarzy specjalistów w dziedzinie chirurgii ogólnej, pomimo dostępności lekarzy specjalistów w dziedzinie chorób wewnętrznych lub innych specjalizacji wskazanych w warunkach realizacji świadczeń dla modelu PCZ oraz personelu pielęgniarstwa.

Lekarzy specjalistów w dziedzinie chirurgii dziecięcej wykazywano w 12 z 32 analizowanych powiatów, najczęściej w liczbie 1–2 osób. W 20 powiatach nie wykazywano lekarzy tej specjalizacji, co wskazuje na istotne ograniczenia organizacyjne w zakresie realizacji świadczeń dla populacji pediatrycznej.

W tym miejscu należy wskazać, że podobne rozwiązania organizacyjne stosowane w innych krajach podlegających analizie (9 krajów) nie przewidują obligatoryjnego udziału lekarza specjalisty w dziedzinie chirurgii.

W zakresie struktury rozpoznań i procedur medycznych wykonywanych na SOR i IP:

- najczęściej realizowane świadczenia dotyczyły urazów, stanów objawowych oraz chorób układu krążenia, przy jednoczesnym wzroście liczby pacjentów (np. dla rozpoznania R10: wzrost z 241 tys. do 288 tys.);
- dominowały procedury związane z monitorowaniem funkcji życiowych, farmakoterapią i diagnostyką obrazową.

Rozwiązania organizacyjne w innych krajach

Zidentyfikowano rozwiązania funkcjonujące w 9 państwach (Australia, Irlandia, Kanada, Niemcy, Norwegia, Portugalia, USA, Szwecja, Wielka Brytania). Ośrodki opieki doraźnej tworzone są przede wszystkim na obszarach o ograniczonym dostępie do świadczeń zdrowotnych, w szczególności na terenach wiejskich, o niskiej gęstości zaludnienia oraz w znacznej odległości od szpitali.

Świadczenia realizowane są przez zespoły interdyscyplinarne, obejmujące głównie lekarzy medycyny rodzinnej oraz pielęgniarki, często z rozszerzonym zakresem kompetencji.

Zakres świadczeń obejmuje leczenie drobnych urazów (rany, oparzenia, nieskomplikowane złamania), a także wybrane świadczenia z zakresu ortopedii, laryngologii, okulistyki i urologii. Zakres świadczeń ograniczony jest do stanów niewymagających hospitalizacji.

Problem ekonomiczny

Z przeprowadzonej przez Agencję wstępnej kalkulacji wynika, że w wariantcie I, zakładającym realizację świadczeń wyłącznie dla populacji osób dorosłych przez 20 podmiotów, ryczałt dobowy oszacowano na poziomie 28 242 zł, co odpowiada kwocie ok. 10,3 mln zł rocznie na jeden podmiot. W wariantcie II, obejmującym realizację świadczeń dla populacji dorosłych i pediatrycznej przez 10 podmiotów, z udziałem specjalisty chirurgii dziecięcej, ryczałt dobowy wynosi 33 372 zł, tj. ok. 12,2 mln zł rocznie na podmiot. Łączny szacowany roczny wpływ na budżet płatnika przy założeniu funkcjonowania 30 PCZ wynosi 328,9 mln zł.

Ryczałt obejmuje koszty stałe, tj. koszty infrastruktury, wynagrodzeń personelu oraz całodobowej gotowości środka transportu. Ryczałt nie obejmuje kosztów zmiennych, takich jak koszty leków, wyrobów medycznych, materiałów zużywalnych, które przewidziano do rozliczania w modelu fee-for-service. Wyłączono z tego modelu procedury o kodach ICD-9: 89.00 (porada lekarska, konsultacja, asysta) oraz 89.04 (opieka pielęgniarki lub położnej), których koszty uwzględniono już w ryczałcie.

Wpływ finansowy procedur rozliczanych w formule fee-for-service nie został oszacowany. Świadczenia te są obecnie realizowane przez inne podmioty lecznicze, ich ewentualne przejęcie przez PCZ oznaczałoby przede wszystkim

zmianę realizatora świadczeń, co nie powinno generować istotnych dodatkowych obciążeń dla budżetu płatnika.

Jednocześnie Agencja wskazała, że przedstawione wyliczenia zachowują aktualność do 30 czerwca 2026 r. Po tym terminie konieczna będzie ich aktualizacja w związku ze zmianą poziomu kosztów osobowych.

Rada zauważyła wysoce niepewny charakter przedstawionej kalkulacji. Z uwagi na odniesienie się do łącznej kwoty ryczałtu dobowego, brak jest wskazania czynników mających przełożenie na konkretne koszty, a także poziomu ich wpływu. Nie są znane wyliczenia na podstawie których oszacowano powyższe kwoty. Nie jest również jasne w jaki sposób rozliczaniu miałyby podlegać transport sanitarny, czy wyłącznie w formie ryczałtu, czy również w formule fee-for-service w przypadku jego realizacji. Należy zatem uznać, że wpływ modelu PCZ na budżet płatnika jest bardzo niepewny, w szczególności może się okazać istotnie wyższy niż przewidywany (także z uwagi na problemy z dostępnością wymaganej kadry medycznej). Ponadto wskazania wymaga, że brak szczegółowych danych w tym zakresie uniemożliwia dokonanie oceny, jak wprowadzenie modelu PCZ wpłynie na sytuację finansową świadczeniodawców, w szczególności czy kwota oszacowanego ryczałtu będzie adekwatna do faktycznie ponoszonych kosztów.

Możliwość wdrożenia PCZ w dużej mierze będzie zależne od dostępności kadry medycznej, rzeczywistej dostępności świadczeń w sąsiednich jednostkach administracyjnych, a także kosztów wdrożenia modelu dla płatnika publicznego oraz potencjału infrastrukturalnego i warunków finansowych dla świadczeniodawców.

Należy wskazać, że analizy wymaga także aspekt dostępnej infrastruktury. Rada wskazuje na brak informacji w przedmiocie wskazania miejsc/placówek, w których miałyby zostać wdrożony model PCZ. Wydaje się, że PCZ mogłyby potencjalnie zostać wdrożone w placówkach AOS, które dysponują stosownym sprzętem. Ten aspekt wymaga jednak pogłębionej analizy, w tym również w aspekcie potencjalnego zakupu sprzętu i przygotowania stosowanej infrastruktury.

Uwagi Rady

- konieczność dokonania pogłębionej analizy kosztów modelu PCZ, w tym również w kontekście możliwości ich optymalizacji;
- konieczność dokonania analizy wdrożenia PCZ w kontekście uwarunkowań infrastrukturalnych;
- konieczność precyzyjnego określenia liczby powiatów, w których miałyby zostać wdrożone PCZ – przy założeniu, że dotyczy to powiatów, na terenie których nie są udzielane świadczenia szpitalne i jednocześnie odległość do najbliższego szpitala (mierzona wg dystansu trasy jazdy samochodem) przekracza 30 km;

- *zapewnienie w każdym PCZ chirurgów dziecięcych, z uwagi na ograniczania kadrowe, może być bardzo trudne do wdrożenia. W związku z tym Rada proponuje fakultatywność w tym zakresie;*
- *zasadność rozszerzenia katalogu personelu o inne specjalności (w części fakultatywnej), np. o lekarza medycyny rodzinnej lub specjalistę medycyny ratunkowej oraz ratownika medycznego, co powinno sprzyjać pozyskaniu odpowiedniego personelu dla PCZ;*
- *rozważenie wprowadzenia mechanizmu, który uchroni przed udzielaniem przez PCZ świadczeń, które mogłyby być udzielone w ramach POZ, Nocnej i Świątecznej Opieki Lekarskiej lub w ramach AOS;*
- *usunięcie z wykazu sprzętu aparatu do pomiaru 24-godzinnej pH-metrii i manometrii lub impedancji z uwagi na brak możliwości prowadzenia w PCZ dalszej diagnostyki i leczenia w tym zakresie;*
- *weryfikacja spójności wykonywanych świadczeń z wymogami dotyczącymi personelu i sprzętu (dot. m.in. świadczenia "usunięcie ciała obcego ze światła tchawicy i oskrzela bez nacięcia").*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DWSGiZS.4100.4.2026 „Powiatowe Centrum Zdrowia - model organizacji opieki”, data ukończenia 21.05.2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 84/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem
uwzględnienia na liście technologii lekowych o wysokim poziomie
innowacyjności

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne uwzględnienie na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia następujących technologii medycznych:

- 1. Voranigo (worasydenib) w monoterapii, do stosowania w leczeniu gwiaździaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszej, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii;*
- 2. Vyjuvek (beremagene geperpawek), do stosowania w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. Dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia.*

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne uwzględnienie na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia następujących technologii medycznych:

- 1. Augtyro (repotrektyrib), w monoterapii, do stosowania w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP);*
- 2. Duvyzat (giwinostat) do stosowania w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami;*
- 3. Ezmekly (mirdametyrib) do stosowania w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych (ang. plexiform*

neurofibromas, PN) u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1 (NF1);

- 4. Maapliv (roztwór aminokwasów niezawierających BCAA), do stosowania w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA);*
- 5. Sephience (sepiapteryna), do stosowania w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenylketonurią (PKU);*
- 6. Tryngolza (olezarsen) do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS);*
- 7. Ziihera (zanidatamab) w monoterapii, do stosowania w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego.*

Uzasadnienie

Dokonując wyboru technologii spośród zakwalifikowanych przez AOTMiT do wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności, a ujętych w projekcie listy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności Ministra Zdrowia, Rada Przejrzystości kierowała się następującymi kryteriami, składającymi się na ocenę innowacyjności technologii:

- zaspokojenie potrzeby zdrowotnej - istotność schorzenia (obejmująca ciężkość skutków i szacowana liczba pacjentów, którzy chorują bądź zachorują na daną chorobę) dostępność w Polsce i skuteczność dostępnych technologii lekowych w tym schorzeniu;*
- siła wnioskowanej interwencji, uwzględniając jej skuteczność i bezpieczeństwo (działania niepożądane) w rozpatrywanym wskazaniu;*
- jakość dostępnych dowodów naukowych;*
- niepewność wnioskowania;*
- koszty terapii.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40a ust. 5 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907) w związku ze zleceniem przygotowania opinii w zakresie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności na liście technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

przygotowywanej przez Ministra Zdrowia zawartym w piśmie Ministra Zdrowia znak PLR2.4504.115.2026.4.PR z dnia 18 maja 2026 r., z uwzględnieniem opracowań analitycznych: OTLI.425.1.2025.1 „Augtyro (repotrektytib) we wskazaniu: w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP)”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.8 „Duvyzat (giwinostat) we wskazaniu: w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.23 „Ezmekly (mirdametytib) we wskazaniu: w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłóknaków splotowatych u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.11 „Maapliv (roztwór aminokwasów) we wskazaniu: w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA)”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.10 „Sephience (sepiapteryna) we wskazaniu: w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenyloketonurią (PKU)”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.13 „Tryngolza (olezarsen) we wskazaniu: do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS)”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.16 „Voranigo (worasydenib) we wskazaniu: w leczeniu gwiazdziaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku co najmniej 12 lat, u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.5 „Vyjuvek (beremagene geperpavec) we wskazaniu: do stosowania w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia”; data ukończenia: 20.02.2026 r.; OTLI.425.1.2025.9 „Ziihera (zanidatamab) we wskazaniu: w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego”; data ukończenia: 20.02.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 68/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Dupixent (dupilumabum) w ramach programu
lekowego „Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc
(PoChP) (ICD-10: J44)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Dupixent (dupilumabum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 300 mg (150 mg/ml), 2 amp.-strzyk., kod GTIN: 05909991341435,*
 - *Dupixent (dupilumabum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 300 mg (150 mg/ml), 2 wstrzykiwacze, kod GTIN: 05909991490614,*
- w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP) (ICD-10: J44)”.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Dupixent (dupilumab) w skojarzeniu z kortykosteroidem wziewnym (wGKS), długodziałającym beta2-mimetykiem (LABA) i długodziałającym antagonistą muskarynowym (LAMA) lub w skojarzeniu z LABA i LAMA, jeśli wGKS nie jest odpowiedni, stosowanych w terapii dorosłych pacjentów z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP) i z zapaleniem typu 2. charakteryzującym się liczbą eozynofiliów we krwi na poziomie ≥ 300 komórek/ μ L), u których w ciągu 12 mies. wystąpiły co najmniej 2 umiarkowane zaostrzenia choroby tj. zaostrzenia wymagające stosowania kortykosteroidów o działaniu ogólnoustrojowym lub co najmniej 1 ciężkie zaostrzenie choroby tj. zaostrzenie wymagające hospitalizacji, oraz którzy spełniają kryteria wnioskowanego programu lekowego: „Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (ICD-10: J44)”.

Dupilumab jest rekombinowanym ludzkim przeciwciałem monoklonalnym klasy IgG4, hamującym przekazywanie sygnałów za pośrednictwem interleukiny

4 i interleukiny 13, które są głównymi czynnikami chorób zapalnych typu 2, takich jak POChP.

Pierwsze pozwolenie na dopuszczenie do obrotu dupilumabu wydano w 2017 r. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Dupixent jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym (zatwierdzonym w roku 2024), przy czym wskazanie rejestracyjne jest ogólne i dotyczy niekontrolowanej przewlekłej obturacyjnej choroby płuc (POChP) charakteryzującej się zwiększoną liczbą eozynofiliów we krwi. Lek przeznaczony jest do długotrwałego leczenia – wstrzyknięcia są podawane co 2 tygodnie. Na potrzeby proponowanego programu lekowego doprecyzowano kryteria kwalifikacji zgodnie z przyjętymi i stosowanymi powszechnie definicjami. Za zwiększoną liczbę eozynofiliów we krwi, zgodnie z zapisami w wytycznych GOLD 2025 oraz polskich wytycznych PTMR 2024 przyjęto wartość ≥ 300 komórek/ μL . Z kolei niekontrolowana choroba została zdefiniowana na podstawie obecnych w literaturze kryteriów obejmujących liczbę i stopień ciężkości zaostrzeń.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono 2 badania randomizowane (BOREAS, NOTUS), 7 przeglądów systematycznych oraz 2 badania rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE).

W zakresie skuteczności wykazano istotną statystycznie redukcję częstości umiarkowanych lub ciężkich zaostrzeń POChP o 31% w metaanalizie ($RR=0,69$), przy czym w poszczególnych badaniach odnotowano spadek o 30% w badaniu BOREAS oraz o 34% w badaniu NOTUS.

Istotnie statystycznie wydłużeniu uległ również czas do wystąpienia pierwszego zaostrzenia ($HR=0,76$ dla umiarkowanych/ciężkich oraz $HR=0,61$ dla ciężkich zaostrzeń). Jednocześnie nie wykazano istotnej statystycznie redukcji częstości występowania wyłącznie ciężkich zaostrzeń ($HR=0,67$; $p=0,07$).

Zastosowanie dupilumabu w skojarzeniu ze standardową terapią wiązało się z istotną statystycznie poprawą objawów oddechowych ocenianych skalą E-RS COPD w metaanalizie ($WMD = -0,9$). W zakresie czynności płuc wykazano istotną statystycznie poprawę parametrów spirometrycznych, ale różnice wynosiły poniżej progu minimalnej istotnej klinicznej różnicy (poniżej ok. 100 ml). Poprawa jakości życia była umiarkowana i wynosiła poniżej progu istotności klinicznej (<4 punkty). Badania rzeczywistej praktyki klinicznej sugerują potencjalną poprawę w zakresie zaostrzeń i objawów (m.in. redukcja CAT o ok. 3–4 punkty oraz zmniejszenie liczby zaostrzeń), jednak ich interpretacja jest ograniczona ze względu na niewielką liczebność populacji i charakter obserwacyjny.

Profil bezpieczeństwa leczenia dupilumabem był zbliżony do placebo – częstość zdarzeń niepożądanych wynosiła ok. 72%, ciężkich zdarzeń niepożądanych 13%,

a zdarzeń prowadzących do zgonu ok. 2%, bez istotnych statystycznie różnic między grupami.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne dotyczące leczenia POChP podkreślają, że postępowanie terapeutyczne powinno obejmować nie tylko farmakoterapię, ale także działania niefarmakologiczne, takie jak zaprzestanie palenia tytoniu, zwiększenie aktywności fizycznej oraz edukację pacjenta.

U pacjentów z grupy E – obciążonych wysokim ryzykiem zaostrzeń – standardem jest terapia trójkowa (LABA + LAMA + wGKS), szczególnie przy podwyższonym poziomie eozynofilów.

W wytycznych polskich (PTMR 2024), amerykańskich (ATS 2020) oraz europejskich (ERS 2020) nie uwzględniono dupilumabu, gdyż zostały one opracowane przed jego rejestracją w leczeniu POChP. Najnowsze wytyczne światowe (GOLD 2026) rozszerzają możliwości terapeutyczne o leczenie biologiczne. W tym kontekście dupilumab pojawia się jako opcja dla pacjentów z grupy E, szczególnie z fenotypem eozynofilowym i objawami przewlekłego zapalenia oskrzeli, u których mimo stosowania terapii trójkowej nadal występują zaostrzenia.

Problem ekonomiczny

W perspektywie płatnika publicznego stosowanie leku Dupixent w skojarzeniu z terapią standardową w miejsce terapii standardowej jest droższe i skuteczniejsze [redacted]. Oszacowany ICUR dla porównania DPL + ST vs ST wyniósł 417 995 PLN/QALY w wariancie bez RSS oraz [redacted].

W przypadku objęcia refundacją leku Dupixent w skojarzeniu z terapią standardową nastąpi [redacted] oraz wzrost o ok. 14,7 mln PLN oraz ok. 42,3 mln PLN odpowiednio w I. i II. roku analizy bez uwzględnienia RSS.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Dupixent (dupilumabum) jest finansowany w 17 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych),

Poziom refundacji ze środków publicznych [redacted]

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną rekomendację pozytywną (HAS 2024), 2 rekomendacje pozytywne warunkowo (CDA-AMC 2026, NICE 2026) oraz dokument G-BA 2025, w którym stwierdzono niewielką dodatkową korzyść kliniczną dupilumabu jako leczenia uzupełniającego u dorosłych pacjentów z niekontrolowaną POChP

i podwyższonym poziomem eozynofilów, przy czym w populacji z cięższą obturacją dodatkowa korzyść nie została wykazana z uwagi na brak danych.

W rekomendacjach pozytywnych jako warunki refundacji wskazano poprawę efektywności kosztowej do akceptowalnego poziomu (CADTH 2026) oraz udostępnienie leku po uzgodnionej cenie (NICE 2026).

Główne argumenty decyzji

- *Niewielkie i niepewne efekty kliniczne.*
- *Nieakceptowalny stosunek kosztów do efektów klinicznych.*

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: DWOK.4131.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Dupixent (dupilumab) we wskazaniu: Leczenie chorych z przewlekłą obturacyjną chorobą płuc (POChP) (ICD-10: J44)”, data ukończenia 13 maja 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Sanofi Sp. z o.o.*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Sanofi 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: Sanofi Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 69/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
w sprawie oceny leku Zilbrysq (zilucoplanum) w ramach programu
lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią
miastonii (ICD-10: G.70.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 16,6 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222278,
- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 23 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222285,
- Zilbrysq (zilucoplanum), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 32,4 mg, 1 ml, GTIN: 05413787222292,

w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G.70.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Miastenia jest nabytą chorobą autoimmunologiczną, cechującą się występowaniem autoprzeciwciał przeciw białkom złącza nerwowo-mięśniowego - receptorowi acetylocholino (AChR) i receptorowej kinazie tyrozynowej swoistej dla mięśni (MuSK) lub rzadziej białku związanemu z receptorem LDL typu 4 (LRP 4). Miastenia jest chorobą przewlekłą, której objawy odczuwalne są przez całe życie pacjenta. Pogorszenie następuje przy powtarzających się aktywnościach, infekcjach, wyższych temperaturach i stresie. W okresie remisji możliwe jest całkowite ustąpienie objawów.

Zilukoplan jest syntetycznym peptydem makrocyclicznym obejmującym 15 aminokwasów, który hamuje działanie białka C5 układu dopełniacza poprzez podwójny mechanizm działania. Swoicie wiąże się z C5, hamując w ten sposób jego rozszczepienie przez konwertazę C5 na C5a i C5b, powodując obniżenie regulacji łączenia i aktywności cytolitycznej kompleksu atakującego błonę (MAC, ang. Membrane Attack Complex). Ponadto, poprzez wiązanie się z grupą C5b

białka C5, zilukoplan sterycznie utrudnia wiązanie C5b z C6, co zapobiega późniejszemu łączeniu się i aktywności MAC w przypadku powstania składnika C5b.

W leczeniu miastonii stosuje się różne grupy leków i procedur medycznych, w tym inhibitory acetylocholinesterazy, glikokortykosteroidy, niesteroidowe leki immunosupresyjne i immunomodulujące, leki biologiczne, preparaty immunoglobuliny ludzkiej, oraz plazmaferezy. W ramach programu lekowego B.157 refundowane są obecnie leki biologiczne: rytuksymab (RYT), efgartigimod (EFG) oraz rawulizumab (RAW).

Dowody naukowe

Brak jest badań naukowych bezpośrednio porównujących wnioskowaną terapię z wskazanymi komparatorami tj. EFG i RAW. Do przeglądu systematycznego włączono dwa przeglądy systematyczne, wyniki niezakotwiczonej analizy MAIC, oraz dwa badania efektywności praktycznej. Dostępne wyniki wskazują na brak istotnych różnic skuteczności i bezpieczeństwa porównywanych terapii, jednak biorąc pod uwagę brak badań head-to-head brak jest jednoznacznych przesłanek do przyjęcia równorzędności klinicznej między ww. terapiami. Dodatkowo wnioskodawca nie uwzględnił w analizach jako komparatora trzeciego leku biologicznego refundowanego w przedmiotowym wskazaniu tj. RYT.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono sześć zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym uogólnionej miastonii gMG u pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholinyl. Wszystkie wytyczne zgodnie wskazują, że leczeniem objawowym pierwszego rzutu w MG są inhibitory acetylocholinesterazy. W przypadku braku wystarczającej kontroli objawów choroby, leczeniem immunosupresyjnym pierwszego wyboru są glikokortykosteroidy. Większość konsensusów dopuszcza możliwość zastosowania rytuksymabu u pacjentów z gMG z przeciwciałami anty-AChR. Rytuksymab może być rozważany już na etapie rozpoczynania leczenia steroidami, u pacjentów z umiarkowanym lub ciężkim przebiegiem choroby w celu ograniczenia ekspozycji na glikokortykosteroidy a także przypadku braku odpowiedzi lub nietolerancji standardowych leków immunosupresyjnych. W przypadku utrzymywania się aktywności choroby pomimo leczenia objawowego i standardowej immunosupresji, u pacjentów z umiarkowaną lub ciężką uogólnioną MG można rozważyć zastosowanie terapii celowanych, stosowanych jako leczenie dodane, obejmujących antagonistów receptora FcRn lub inhibitory dopełniacza C5.

Zilukoplan wymieniany jest jako jeden z inhibitorów dopełniacza C5 przeznaczony do stosowania u dorosłych pacjentów z gMG i przeciwciałami anty-AChR, z utrzymującą się aktywnością choroby mimo leczenia standardowego.

Problem ekonomiczny

Cena terapii zaproponowana przez wnioskodawcę w znaczący sposób obciąża budżet płatnika publicznego, przy wynikach badań nie dających podstaw do uznania istotnej przewagi zaproponowanej terapii nad dostępnymi i refundowanymi obecnie w ramach programu B.157 lekami. Dodatkowo w przedstawionej analizie nie uwzględniono wszystkich leków dostępnych w ramach programu lekowego. Wnioskodawca przedstawił oszacowania kosztów jedynie dla dwóch z trzech terapii aktualnie refundowanych w programie lekowym, pomijając rytuksymab.

Rekomendacje refundacyjne

W dostępnych negatywnych rekomendacjach refundacyjnych (4 przypadki) zwraca się uwagę na brak odpowiednich danych porównawczych, brak danych odnośnie do skutków długoterminowych terapii, oraz bardzo wysoki koszt terapii w relacji do potencjalnych korzyści zdrowotnych. Niemieckie rekomendacje wskazują na brak dowodów naukowych na dodatkową korzyść terapeutyczną wnioskowanej terapii w stosunku do leczenia standardowego.

Główne argumenty decyzji

- *Brak przekonujących dowodów naukowych na równorzędność wnioskowanej terapii z komparatorami.*
- *Nieuwzględnienie w analizach rytuksymabu jako komparatora.*
- *Ograniczona wiarygodność przedstawionego oszacowania kosztów, które nie uwzględnia wszystkich leków dostępnych w ramach programu lekowego.*
- *Wysoka cena terapii.*

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.4131.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Zilbrysq (zilucoplan) w ramach programu lekowego B.157 »Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastenii (ICD-10: G70.0)«”, data ukończenia 13.05.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 85/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
szczepień przeciw krztuścowi w gminie Ożarów Mazowiecki
na rok 2026”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw krztuścowi w gminie Ożarów Mazowiecki na rok 2026”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Ożarów Mazowiecki, zakładający przeprowadzenie szczepień przeciwko krztuścowi, poprzedzone badaniem kwalifikacyjnym wraz z edukacją zdrowotną wśród osób w wieku 55 lat i więcej, niezaszczepionych w okresie ostatnich 10 lat przeciwko krztuścowi. Wnioskodawca zaznaczył, że szczepienia w programie, w związku z ograniczonymi możliwościami finansowymi gminy Ożarów Mazowiecki, zostaną zagwarantowane dla 80 osób. Podkreślono także, że świadczenia w programie będą realizowane według kolejności zgłoszeń.

Program ma być realizowany w 2026 roku.

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na 25 000 zł.

Program ma być finansowany z budżetu gminy Ożarów Mazowiecki.

Oceniany projekt programu dotyczy problemu zdrowotnego jakim jest krztusiec. Wnioskodawca przedstawił opis problemu zdrowotnego, wskazując na definicję, etiologię, czynniki ryzyka, rozpoznanie oraz obraz kliniczny.

Oceniany projekt zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowano treść problemu zdrowotnego.

W projekcie programu przedstawiono sytuację epidemiologiczną krztuśca w odniesieniu do danych światowych, europejskich, krajowych, regionalnych i lokalnych.

Głównym założeniem projektu programu jest „podniesienie lub utrzymanie, w trakcie trwania programu, wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki chorób zakaźnych, wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych realizowanych podczas wizyt kwalifikacyjnych”. Cel główny jest możliwy do osiągnięcia w związku z zaplanowanymi w projekcie działaniami edukacyjnymi. W projekcie zaplanowano przeprowadzenie pre- i post-testu wiedzy, co jest działaniem zasadnym. Do projektu załączono przykładowy test, który co do zasady odzwierciedla zakres zaplanowanych działań edukacyjnych.

W treści projektu wskazano również 1 cel szczegółowy, tj. „zwiększenie o co najmniej 1% odsetka osób z populacji docelowej programu zaszczepionych przeciwko błonicy, tężcowi i krztuścowi”. Cel szczegółowy odnosi się do zwiększenia odsetka populacji zaszczepionej. Cel szczegółowy wydaje się możliwy do zrealizowania w wyniku zaplanowanych działań immunizacyjnych.

Oceniany projekt zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowano treść problemu zdrowotnego.

W projekcie programu przedstawiono sytuację epidemiologiczną krztuśca w odniesieniu do danych światowych, europejskich, krajowych, regionalnych i lokalnych.

W ramach uzasadnienia potrzeby wdrożenia programu odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych.

Wnioskodawca przedstawił kryteria włączenia i wyłączenia w podziale na interwencje zaplanowane w PPZ. Kryteria włączenia do programu dla części informacyjno-edukacyjnej będą stanowić: wiek: 55 lat i więcej oraz zamieszkiwanie na terenie gminy Ożarów Mazowiecki. Kryteria wyłączenia z programu dla części dotyczącej działań informacyjno-edukacyjnych obejmują: uczestnictwo w działaniach edukacyjnych obejmujących tę samą tematykę w okresie poprzednich 2 lat. Kryteria włączenia do programu dla części dotyczącej szczepień ochronnych będą stanowić: wiek: 55 lat i więcej, zamieszkiwanie na terenie gminy Ożarów Mazowiecki oraz dobrowolna zgoda na udział w programie. Kryteria wyłączenia z programu dla części dotyczącej szczepień ochronnych obejmują: indywidualne przeciwwskazania zdrowotne do wykonania szczepienia, stwierdzone podczas wizyty kwalifikującej do szczepienia, przynależność do grupy mającej możliwość bezpłatnego szczepienia przeciwko błonicy, tężcowi i krztuścowi w ramach finansowania przez NFZ lub Ministerstwo Zdrowia (np. kobiety ciężarne) oraz zaszczepienie przeciwko błonicy, tężcowi i krztuścowi w okresie krótszym niż 10 lat od momentu zgłoszenia się do programu.

W ramach programu planowane jest wykonanie szczepień przeciwko błonicy, tężcowi i krztuścowi, poprzedzone badaniem kwalifikacyjnym wraz z edukacją zdrowotną.

W treści projektu odniesiono się do sposobu zakończenia udziału w programie. Wnioskodawca wskazał, że zakończenie działań edukacyjnych nastąpi w przypadku pacjentów, którzy podczas badań kwalifikacyjnych do szczepienia ochronnego nie zostaną zakwalifikowani. Udział uczestnika w PPZ może zostać zakończony w przypadku zrealizowania przez uczestnika schematu szczepień przy użyciu wybranego preparatu. Uczestnik może także zakończyć udział w programie zgłaszając chęć zakończenia udziału w PPZ. Uczestnictwo może się także odbyć w związku z zakończeniem realizacji programu. Projekt zawiera opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. W projekcie szczegółowo odniesiono się do warunków dotyczących personelu, wyposażenia oraz warunków lokalowych, jakie powinien spełnić realizator programu. W projekcie przedstawiono informacje dotyczące planowanych działań informacyjno-edukacyjnych skierowanych do populacji docelowej programu. Wskazano, że działania te będą miały na celu podniesienie świadomości populacji ogólnej nt. profilaktyki błonicy, tężca i krztuśca.

Realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Uwaga Rady Przejrzystości:

- *warto rozważyć badanie poziomu przeciwciał przeciwko krztuścowi jako element kwalifikacji do szczepienia.*

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.451.23.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie szczepień przeciw krztuścowi w gminie Ożarów Mazowiecki na rok 2026” realizowany przez: Gminę Ożarów Mazowiecki, Warszawa, maj 2026 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu profilaktyki krztuśca z wykorzystaniem skojarzonej szczepionki przeciw błonicy, tężcowi i krztuścowi, z obniżoną dawką antygenów błonicy i krztuśca (Tdap) – wspólne podstawy oceny” z lutego 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 86/2026 z dnia 25 maja 2026 roku
o projekcie programu „Wczesno wielospecjalistyczna i kompleksowa
opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub
niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Wczesno wielospecjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej (PPZ) zaplanowany do realizacji przez Gminę Nędza. W ramach programu przewidziano realizację kompleksowych, wielospecjalistycznych świadczeń rehabilitacyjnych i terapeutycznych, obejmujących m.in. rehabilitację leczniczą, metody neurofizjologiczne, terapię psychologiczną, logopedyczną, pedagogiczną oraz inne formy terapii wspomagającej rozwój dziecka. Program skierowany jest do dzieci zamieszkujących teren Gminy Nędza, zagrożonych niepełnosprawnością lub z rozpoznaną niepełnosprawnością, wymagających wczesnej i systematycznej rehabilitacji. Planowane koszty zostały oszacowane na kwotę 20 000 zł w 2026 roku. Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Nędza.

Należy zaznaczyć, że Rada Przejrzystości trzykrotnie opiniowała PPZ z zakresu rehabilitacji przesłany przez Gminę Nędza. Spośród dotychczas ocenianych programów dwa z nich otrzymały opinię negatywną (137/2016 oraz 35/2017). Ostatni z przesłanych projektów przez Gminę Nędza w tym zakresie – PPZ pn. „Wczesno specjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza” wpłynął pismem z dn. 07.03.2022 r. Prezes Agencji wydał opinię pozytywną warunkowo nr 24/2022 z dnia 11 maja 2022 r. Jednak w obecnie rozpatrywanym PPZ Wnioskodawca nie dostosował się do większości uwag i zarzutów załączonych do poprzedniego programu.

Projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim są zaburzenia rozwoju oraz niepełnosprawność dzieci wymagających wczesnej, kompleksowej i wielospecjalistycznej rehabilitacji. W opisie problemu zdrowotnego odniesiono się do znaczenia wczesnej diagnostyki oraz szybkiego wdrożenia działań terapeutycznych jako kluczowych elementów wspierających prawidłowy rozwój dziecka, poprawę jego sprawności funkcjonalnej oraz zwiększenie szans na samodzielność i integrację społeczną. Wskazano, że do najczęstszych problemów zdrowotnych wymagających rehabilitacji należą zaburzenia psychoruchowe, opóźnienia rozwojowe, deficyty neurologiczne oraz niepełnosprawność ruchowa. Podkreślono również, że brak odpowiednio intensywnej i systematycznej rehabilitacji we wczesnym okresie życia może prowadzić do pogłębiania się deficytów rozwojowych, utrwalenia niepełnosprawności oraz konieczności długotrwałej opieki i wsparcia w kolejnych etapach życia. Należy jednak zaznaczyć, że opis problemu zdrowotnego został przedstawiony w sposób ogólny, a wnioskodawca nie odniósł się szczegółowo do poszczególnych schorzeń, a także nie została przedstawiona ich etiologia i charakterystyka.

W projekcie nie odniesiono się również do Map Potrzeb Zdrowotnych (MPZ). Ponadto, należy wskazać, że przedstawione w PPZ dane epidemiologiczne mają ograniczoną wartość w kontekście oceny skali problemu zdrowotnego w populacji docelowej programu. Przytoczono głównie dane ogólnopolskie i regionalne dotyczące osób z niepełnosprawnościami oraz dzieci ze specjalnymi potrzebami edukacyjnymi, natomiast nie przedstawiono danych lokalnych dotyczących dzieci niepełnosprawnych lub zagrożonych niepełnosprawnością. Dodatkowo nie podano dokładnych źródeł danych w przypisach czy bibliografii.

Dodatkowo warto podkreślić, że w odniesieniu do całego projektu wnioskodawca używa określenia „program zdrowotny”, co jest nieprawidłowe i niezgodne z ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2025 poz. 1461 z późn. zm.).

Wnioskodawca w treści projektu wskazał koszty jednostkowe oraz koszt roczny w 2026 roku. W kosztach jednostkowych wskazano: 100 zł – koszt jednorazowych zajęć terapeutycznych trwających od 30 do 60 minut dla 1 dziecka (indywidualne sesje terapeutyczne) oraz 100 zł – koszt sesji terapeutycznej trwającej 30 minut dla 1 dziecka (zajęcia terapeutyczne indywidualne i wspomagające). Jednak w budżecie nie odniesiono się do kosztów akcji informacyjnej, monitorowania i ewaluacji. Nie przedstawiono również budżetu w podziale na poszczególne lata realizacji programu. Wskazano jedynie, że „środki te pozwolą na realizację łącznie 200 świadczeń terapeutycznych dla 7 dzieci objętych programem”. Należy jednak podkreślić, że ze względu na nieprecyzyjny opis interwencji w PPZ, a także ogólnie przedstawione koszty nie jest możliwe zweryfikowanie poprawności założeń przyjętych przez wnioskodawcę.

Wszystkie powyższe uchybienia przyczyniły się do negatywnej oceny Rady Przejrzystości.

Główne argumenty decyzji:

- Brak podstawowych elementów programu.
- Brak informacji uzasadniających potrzebę wdrożenia zaplanowanych interwencji - nie odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych (MPZ).
- Brak raportu końcowego z realizacji poprzedniego PPZ, który był zaplanowany na lata 2022-2025.
- W odniesieniu do całego projektu wnioskodawca używa określenia „program zdrowotny”, co jest nieprawidłowe i niezgodne z ustawą z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
- Opis problemu zdrowotnego został przedstawiony w sposób ogólny, a wnioskodawca nie odniósł się szczegółowo do poszczególnych schorzeń, a także nie została przedstawiona ich etiologia i charakterystyka.
- Wnioskodawca nie przedstawił referencji bibliograficznych ani wykazu piśmiennictwa na podstawie, którego opracowano projekt programu.
- Przedstawione w PPZ dane epidemiologiczne mają ograniczoną wartość w kontekście oceny skali problemu zdrowotnego w populacji docelowej programu.
- Nie przedstawiono danych lokalnych dotyczących dzieci niepełnosprawnych lub zagrożonych niepełnosprawnością.
- Cel główny został sformułowany nieprawidłowo – składa się z dwóch odrębnych założeń.
- W PPZ nie przedstawiono prawidłowo sformułowanego celu szczegółowego.
- Wszystkie przedstawione wskaźniki zostały sformułowane w sposób nieprawidłowy i nie spełniają funkcji mierników efektywności.
- W odniesieniu do zapisów w PPZ nie jest jasne czy wskazana liczba 7 dzieci dotyczy okresu trwania całego programu czy jednego roku.
- Nie przedstawiono wyodrębnionych kryteriów włączenia i wyłączenia uczestników.
- Nie zaplanowano przeprowadzenia działań edukacyjnych.
- Przedstawiony opis interwencji został opisany zdawkowo i w nieuporządkowany sposób.
- Część interwencji jak np. terapia integracji sensorycznej nie jest zalecana lub nie znajduje poparcia w wystarczającej ilości dowodów naukowych.
- Zdawkowy opis etapów i działań organizacyjnych. Nie opisano działań informacyjnych związanych z jego realizacją.
- Zdawkowo odniesiono się do informacji nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.

- *W opisie warunków dotyczących personelu nie wskazano konkretnych wymagań dotyczących specjalistów.*
- *W projekcie PPZ nie wskazano jednoznacznie, że realizator zostanie wybrany w drodze konkursu ofert.*
- *W projekcie nie przedstawiono więcej wskaźników odnoszących się do oceny zgłaszalności.*
- *Wnioskodawca powołuje się na załączniki, które jednak nie zostały dołączone do projektu i nie było możliwości ich weryfikacji.*
- *W projekcie nie przedstawiono prawidłowo sformułowanych mierników efektywności, zatem przeprowadzenie kompleksowej oceny efektywności podjętych działań może okazać się niemożliwe.*
- *W projekcie nie przedstawiono budżetu w podziale na poszczególne lata realizacji programu.*
- *W budżecie nie odniesiono się do kosztów akcji informacyjnej, monitorowania i ewaluacji.*

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.451.24.2026 „Wczesno specjalistyczna i kompleksowa opieka nad dzieckiem zagrożonym niepełnosprawnością lub niepełnosprawnym z terenu Gminy Nędza” realizowany przez: Gminę Nędza, Warszawa, maj 2026 oraz Aneksów do raportów szczegółowych „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r. oraz „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r.