



DOR.001.22.2026.MKZ

**Protokół z posiedzenia  
Rady Przejrzystości 26/2026  
w dniu 29 czerwca 2026 roku  
w formie wideokonferencji**

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 09:57.

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

1. Robert Bryzek
2. Andrzej Dąbrowski
3. Roman Junik
4. Elżbieta Lanc
5. Tomasz Pasierski
6. Jacek Rubik
7. Zbigniew Siudak
8. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Anna Czerniecka-Kubicka

Członkowie Rady nieobecni podczas posiedzenia:

1. Małgorzata Dziedziak

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 Brineura (cerliponasum alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ICD-10: E75.4)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Mounjaro KwikPen (tirzepatydum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego B.52. „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Izamby (denosumabum) we wskazaniu: leczenie osteoporozy u kobiet po menopauzie oraz u mężczyzn, u których występuje zwiększone ryzyko złamań (definiowane jako T-score mniejsze lub równe -2,5 lub wystąpienie złamania osteoporozyjnego).

6. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.44 „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji mieszkańców Świnoujścia w wieku od 70 roku życia na lata 2026-2028”.
8. Zakończenie posiedzenia.

**Ad 1.** Roman Junik zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Mounjaro KwikPen, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 3 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 8 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

**Ad 2.** Analitik Agencji podsumował raport dot. leku Brineura.

Do posiedzenia dołączyła Anna Czerniecka-Kubicka, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów, który odpowiedział również na pytania członków Rady.

Głos zabrał Tomasz Pasierski.

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

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Anna Czerniecka-Kubicka, Aleksandra Zasada i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

**Ad 3.** Analitik Agencji omówił najważniejsze dane z raportu dot. leku Mounjaro KwikPen.

Głos zabrał Tomasz Pasierski.

Rada wysłuchała stanowisk przedstawicieli pacjentów, którzy odpowiedzieli również na pytania członków Rady.

W dyskusji głos zabrali Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak, a przedstawił Zbigniew Siudak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Zbigniew Siudak, Andrzej Dąbrowski i Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym z uwagi na zgłoszony konflikt interesów, uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

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

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Roman Junik, a przedstawił Andrzej Dąbrowski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

**Ad 5.** Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. leku Izamby.

Głos zabrał Tomasz Pasierski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Jacek Rubik i Elżbieta Lanc.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Tomasz Pasierski i Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

**Ad 6.** Analitik Agencji podsumował raport w sprawie zmian w programie lekowym dot. leczenia chorych z ciężką postacią astmy.

Projekt opinii Rady przygotowała Aleksandra Zasada.

Tomasz Pasierski doprecyzował treść uchwały.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Tomasz Pasierski przekazał prowadzenie  
posiedzenia Andrzejowi Dąbrowskiemu  
i opuścił posiedzenie.

**Ad 7.** Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej miasta Świnoujście w zakresie rehabilitacji.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Elżbieta Lanc.

Andrzej Dąbrowski zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

**Ad 8.** Andrzej Dąbrowski zakończył posiedzenie o godzinie 13:10.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 80/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku  
w sprawie oceny leku Brineura (cerliponasum alfa) w ramach  
programu lekowego „Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną  
typu 2 (ICD 10: E75.4)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Brineura (cerliponasum alfa), roztwór do infuzji, 150 mg/5 ml, 2 fiolek, GTIN: 05391524461541, w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ICD 10: E75.4)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem znacznego obniżenia ceny i zastosowania instrumentu dzielenia ryzyka, pozwalającego na zbliżenie ICUR do ustawowego progu efektywności kosztowej.*

*Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.*

**Uzasadnienie**

**Problem decyzyjny**

*Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Brineura (cerliponaza alfa) w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ICD 10: E75.4)”.*

*Wnioskowane wskazanie jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym, zawężone kryteriami włączenia i wykluczenia z programu lekowego, aczkolwiek zawęża populację włączaną do programu lekowego (PL) do pacjentów pediatrycznych. Zgodnie z zapisami proponowanego programu lekowego do leczenia lekiem Brineura kwalifikować się będą pacjenci z rozpoznaną lipofuscynozą neuronalną typu 2 <18 r.ż. Zapisy ChPL Brineura z kolei nie ograniczają wieku pacjentów. Jednak należy zauważyć, że dostępne są ograniczone dane dotyczące chorych z zaawansowaną progresją choroby w momencie rozpoczęcia leczenia i nie są dostępne żadne dane kliniczne dotyczące dzieci w wieku poniżej 1 roku.*

*Lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ang. late infantile neuronal ceroid lipofuscinosis type 2, CLN2), zwana również chorobą Jansky’ego-Bielschowsky’ego, jest rzadką lizosomalną chorobą spichrzeniową z grupy*

*ceroidolipofuscynoz neuronalnych. Jest to grupa uwarunkowanych genetycznie chorób ośrodkowego układu nerwowego, w których patogenezie odgrywa rolę nadmierne spichrzanie ceroidu i lipofuscyny w lizosomach. Stanowią jedną z najczęstszych uwarunkowanych genetycznie chorób metabolicznych układu nerwowego w wieku dziecięcym.*

*Cerliponaza alfa jest rekombinowaną formą ludzkiej tripeptydylopeptydazy 1 (rhTPP1). To proteolityczny, nieaktywny proenzym (zymogen), który jest aktywowany w lizosomie. Cerliponaza jest pobierana przez komórki docelowe i przenoszona do lizosomów przez niezależny od kationu receptor mannozo-6-fosforanu (Ci-MPR). Profil glikozylacji cerliponazy alfa powoduje spójny wychwyt komórkowy i skierowanie do lizosomu w celu aktywacji. Aktywowany enzym proteolityczny (rhTPP1) rozszczepia tripeptydy z N-końca docelowego białka bez określonej swoistości substratowej. Nieodpowiednie stężenie TPP1 powoduje chorobę CLN2.*

*Wczesnymi objawami CLN2 są napady padaczkowe o różnej etiologii. Najczęściej pierwszy ma charakter napadu uogólnionego toniczno-klonicznego, rzadziej połowicznego lub miokloniczno-atonicznego, w wieku 3 lat. Powyżej 4 r.ż. u dzieci występują głównie napady o typie miokloniczno-atonicznym i często rozpoznaje się zespół padaczkowy Lennox-Gastauta oporny na leki. Morfologia napadów padaczkowych ulega zmianie w czasie rozwoju choroby. W okresie kolejnych kilkunastu miesięcy obserwuje się stałe klinicznie napady miokloniczne, które stają się jedynym typem napadów u dzieci powyżej 7 r.ż.*

*Następnym, jednoczasowym, głównym objawem klinicznym jest zahamowanie rozwoju psychoruchowego, poprzedzone zawsze mieszanymi zaburzeniami emocjonalnymi o różnym stopniu nasilenia w wieku 2-3 lat. Zaburzenia procesów emocjonalnych w 1 i 2 r.ż. to nadpobudliwość psychoruchowa, osłabienie kontroli emocji, łatwa drażliwość i wybuchy złości. Opisane objawy nadpobudliwości psychoruchowej wiążą się wyraźnie z obserwowanym przez najbliższe otoczenie i rodziców zahamowaniem rozwoju psychoruchowego i umysłowego o tak szybkim przebiegu, że można je określić ostrą psychodegradacją. Stopniowo dochodzi do zupełnego zaniku prawidłowo wcześniej rozwiniętej mowy u wszystkich dzieci w wieku 4-5 lat.*

*Kolejnym objawem choroby, pojawiającym się w wieku 3-4 lat, jest ataksja, polegająca na niezborności ruchowej i zaburzeniach równowagi. Ten dość widoczny objaw kliniczny maskowany jest często miokloniami i zespołem piramidowym. W wieku 4-5 lat najczęściej dzieci już nie potrafią samodzielnie chodzić.*

*Bardzo ważnym i szybko rozwijającym się objawem klinicznym są zaburzenia widzenia, w miarę upływu czasu prowadzące do ślepoty, która w ewidentny sposób jeszcze bardziej upośledza psychoruchowo dziecko. Pierwsze zaburzenia*

wzroku pojawiają się w wieku 3,5-5 lat, natomiast pełna ślepota jest rozpoznawana w wieku 5-6 lat. Z uwagi na narastające zaburzenia wzrokowe, u dzieci występują trudności w nawiązywaniu kontaktów społecznych, negatywizm i wycofywanie się z kontaktów z rówieśnikami, co łącznie z postępującym zanikiem mowy przypomina cechy zachowań autystycznych.

Objawy nasilają się wraz z wiekiem i dochodzi do gwałtownej utraty wcześniej nabytych umiejętności. Dochodzi do całkowitej utraty mowy i zdolności chodzenia, po czym pacjenci stają się w pełni zależni od opiekunów.

CLN2 charakteryzuje się przedwczesną śmiercią, a większość dzieci rzadko dożywa wczesnego okresu dojrzewania (8-12 lat).

Nie ma opublikowanych polskich danych epidemiologicznych dotyczących występowania CLN2. Odnalezione w literaturze wartości wskaźnika zapadalności wynoszą 0,15-0,9/100 000 żywych urodzeń, natomiast wartości wskaźnika chorobowości wynoszą 0,6-0,7/1 000 000 żywych urodzeń dla różnych krajów europejskich (Portugalia, Wielka Brytania, Niemcy, Szwecja).

Produkt leczniczy Brineura był już przedmiotem oceny AOTMiT w 2019 r. w ramach wniosku refundacyjnego (refundacja w ramach programu lekowego „Leczenie lipofuscynozy neuronalnej typu 2 (ICD-10: E 75.4), wskazanie tożsame z aktualnie wnioskowanym).

Stanowisko Rady Przejrzystości (SRP 34/2019 z dnia 6 maja 2019 r. do zlecenia 46/20191) było pozytywne, pod warunkiem znacznego obniżenia ceny leku oraz wprowadzenia mechanizmu dzielenia ryzyka, polegającego na zwrocie przez wnioskodawcę dotychczas poniesionych kosztów leczenia w przypadku pogorszenia stanu klinicznego pacjenta o 2 i więcej w skali ML CLN2. Rekomendacja Prezesa (REK 32/2019 z dnia 14 maja 2019 r. do zlecenia 46/20191) pokrywała się ze stanowiskiem Rady Przejrzystości.

#### Dowody naukowe

W ramach analizy klinicznej wnioskodawca przedstawił ocenę skuteczności i bezpieczeństwa produktu leczniczego BRINEURA (cerliponaza alfa) w leczeniu ceroidolipofuscynozy neuronalnej typu 2.

W ramach przeprowadzonego przeglądu systematycznego nie odnaleziono pierwotnych badań klinicznych z randomizacją.

Wykonanie porównania z komparatorem możliwe było wyłącznie z uwzględnieniem danych z historycznej grupy kontrolnej (badanie 190-203, 190-201/202, MAA oraz Schulz 2025). Wyniki analizy skuteczności klinicznej wskazują, że wśród chorych leczonych CER ryzyko zgonu było IS niższe w badaniu 190-201/202 w porównaniu z naturalnym przebiegiem CLN2 (HR = 0,04; 95% CI: 0,00; 0,30) po 289 tyg. obserwacji. Mediana wieku zgonu w historycznej grupie kontrolnej wynosiła 10,4 lat. W grupie chorych leczonych enzymatyczną terapią zastępczą nie odnotowano przypadku zgonu, a średni wiek w chwili

podania ostatniej dawki CER wynosił 10 lat. Spójne wyniki zaobserwowano w przypadku dopasowania grupy badanej i kontrolnej: Mediana czasu do zgonu w grupie nieleczzonej wynosiła 313 tygodni, natomiast w grupie leczonej CER nie została osiągnięta (w grupie chorych leczonych CER nie odnotowano zgonu w czasie trwania badania 190-201/202).

Zastosowanie CER w porównaniu z BSC, po 169 tyg. leczenia w badaniu 190-203 wiązało się też z IS obniżeniem o 91% ryzyka trwałej progresji CLN2, zdefiniowanej jako pogorszenie o co najmniej 2 punkty lub uzyskanie wyniku 0 punktów w skali ML CLN2. Podobne wyniki uzyskano w badaniu 190-201/202 po 289 tyg. leczenia, badaniu MAA po 209 tyg. obserwacji, badaniu Schulz po 104 tyg. Mediana czasu do progresji choroby nie została osiągnięta w grupie chorych leczonych CER w badaniu 190-203, natomiast w grupie kontrolnej wyniosła 103 tyg. W badaniu MAA mediana czasu do wystąpienia trwałej progresji choroby w skali ML CLN2 wyniosła 32,87 mies. w grupie CER i 9,62 mies. w grupie BSC po 209 tyg. Z kolei w badaniu 190-201/202 mediana czasu do wystąpienia trwałej progresji choroby w skali ML CLN2 była 5,3 razy dłuższa u chorych leczonych w porównaniu do grupy kontrolnej w populacji dopasowanej (272 tyg. vs 51 tyg.) po 289 tyg. obserwacji. W 289 tyg. brak progresji odnotowano u 47% chorych leczonych CER vs. 6% leczonych BSC, wynik IS. Zastosowanie CER w badaniu 190-203 wiązało się też ze znamienym statystycznie spowolnieniem progresji choroby we wszystkich podgrupach wiekowych, przy czym chorzy rozpoczynający leczenie w młodszym wieku wykazywali wolniejszą progresję CLN2. Przeprowadzono analizy także dla podgrupy chorych (badanie 190-203) z maksymalnym wynikiem w skali MLVS CLN2 wynoszącym 12 punktów na początku badania (7 chorych) - mediana czasu do wystąpienia objawów choroby wynosiła 67 tyg. w historycznej grupie kontrolnej, podczas gdy w grupie chorych leczonych CER mediana nie została osiągnięta. W 145. tygodniu u wszystkich chorych z historycznej grupy kontrolnej z wartością początkową 12 punktów odnotowano progresję choroby, w porównaniu do 3 z 7 (42,9%) chorych leczonych CER. Wśród chorych leczonych CER z najmłodszej podgrupy wiekowej (chorzy < 2 r.ż.) nie odnotowano pogorszenia wyniku w skali ML CLN2 po 169 tyg. leczenia.

W grupie chorych leczonych CER w porównaniu do historycznej grupy kontrolnej odnotowano IS mniejsze prawdopodobieństwo uzyskania wyniku 0 punktów w skali ML CLN2 (badanie 190-203, 190-201/202, MAA). W grupie otrzymującej leczenie enzymatyczne w czasie trwania badań 190-201/202 i MAA niemożliwe było określenie czasu do uzyskania wyniku 0 punktów w skali ML CLN2, natomiast w historycznej grupie kontrolnej mediana wynosiła odpowiednio 109 tyg./17,3 mies.

Najmniejsze pogorszenie w grupie CER w badaniu 190-201/202 obserwowano w domenie funkcji językowych (-0,6 pkt. vs. -2,3 pkt. w grupie BSC), a największe

pogorszenie w domenie funkcji wzrokowych (-1,4 pkt. vs. -2,3 pkt w grupie BSC), aczkolwiek niższe niż w grupie BSC. Z kolei w domenie drgawek odnotowano poprawę (0,8 pkt. vs. -1,0 pkt w grupie BSC) po 289 tyg. Chorzy w badaniu 190-203 leczeni CER wykazywali stabilność wyników w skali ML CLN2 od momentu rozpoczęcia badania do jego zakończenia, a także w ocenie całkowitej skali CLN2, obejmującej oprócz funkcji motorycznych i językowych również funkcje wzrokowe i drgawki.

W badaniu Spaull 2024 po 34 mies. obserwacji mediana czasu do wystąpienia poszczególnych objawów wynosiła odpowiednio 4 lata dla ataksji, 5 lat dla mioklonii, 7,5 roku dla spastyczności, 8 lat dla dystonii oraz 10 lat dla hipokinezji. Różnice pomiędzy analizowanymi krzywymi czasu do zdarzenia były istotne statystycznie.

Dane dotyczące jakości życia zostały zebrane tylko dla chorych leczonych CER w badaniu 190-201/202. Odnotowano ogólną poprawę w ocenie CLN2-QoL, ze średnim wzrostem wyniku o 10,9% w okresie 48 tygodni, natomiast po 289 tyg. odnotowano niewielki spadek wyniku (pogorszenie). Znaczną poprawę zaobserwowano w zakresie występowania drgawek po 289 tyg. - różnica względem wartości początkowej wynosiła 12,5 pkt. W domenach przyjmowania pokarmów bez gastrostomii, snu, zachowania i codziennych czynności odnotowano pogorszenie jakości życia (największe średnie pogorszenie wyniku w skali CLN2-QoL odnotowano w domenie codziennych czynności -18,2 punktów, natomiast najmniejszą różnicę zaobserwowano w domenie zachowania: -1,8 punktów). W najdłuższym dostępnym okresie obserwacji po 289 tyg. odnotowano obniżenie jakości życia chorych według skali PedsQL ogółem o 15 pkt., natomiast wyniki dla poszczególnych wskazują na pogorszenie w domenie fizycznej (-29,6 pkt.), społecznej (-10,6 pkt.), funkcjonowania w szkole (-16,4 pkt.) oraz poprawę w domenie funkcjonowania emocjonalnego. Dodatkowo w kwestionariuszu dotyczącym funkcjonowania rodziny nieznacznemu pogorszeniu uległo funkcjonowanie fizyczne, społeczne i poznawcze, natomiast jakość życia rodziny uległa poprawie w obszarze emocjonalnym i komunikacji.

Z kolei w badaniu MAA w najdłuższym okresie obserwacji, wynoszącym 42 miesiące, odnotowano niewielki wzrost wartości (poprawę): w kwestionariuszu PedsQL o 0,14 punktu, w kwestionariuszu EQ-5D-5L o 0,024 punktu, natomiast w kwestionariuszu CLN2-QoL odnotowano pogorszenie o 2,87 punktu względem wartości początkowych (brak zmian IS).

Przegląd systematyczny Oliveira 2026 wraz z przedstawioną w nim metaanalizą (5 punktów końcowych), obejmującą 31 dzieci z CLN2 (2 badania obserwacyjne) wskazuje na korzyści leczenia CER, szczególnie w zakresie stabilizacji postępu choroby, jednocześnie autorzy zwracają uwagę na działania niepożądane. Łączna analiza wykazała, że średni początkowy wynik w skali oceny klinicznej (CRS)



wynosił 3,47, a na końcu obserwacji 24% chorych uzyskało wynik 0 pkt lub 1 pkt. U 41% chorych występowały uogólnione napady toniczno-kloniczne, gorączka u 60%, nadwrażliwość u 82,6%, anafilaksja u 3% i reakcje związane z infuzją u 18,31%. Zaobserwowano znaczną heterogeniczność. Autorzy zwracają uwagę, że metaanaliza podkreśla kluczowe korzyści z leczenia cerliponazą alfa u dzieci z CLN2, takie jak potencjalna stabilizacja niektórych aspektów motorycznych i językowych. Istnieją jednak istotne ograniczenia, zwłaszcza biorąc pod uwagę, że jest to rzadkie schorzenie. Brak grupy kontrolnej uniemożliwia bezpośrednie porównanie cerliponazy alfa z alternatywnymi opcjami leczenia, co utrudnia ostateczne przypisanie obserwowanej poprawy klinicznej wyłącznie danemu leczeniu lub aby z pewnością ustalić związek przyczynowo-skutkowy.

Na podstawie dostępnych danych niemożliwe było przeprowadzenie analizy profilu bezpieczeństwa terapii CER względem komparatora. Wnioski na temat profilu bezpieczeństwa badanej interwencji sformułowano na podstawie wyników badań jednoramiennych. Po 169 tyg. obserwacji w badaniu 190-203 nie odnotowano żadnych zgonów, zdarzeń niepożądanych prowadzących do zmniejszenia dawki czy trwałego przerwania leczenia. Również w badaniach 190-201 oraz 190-202 w okresie obserwacji wynoszącym 289 tyg. nie wystąpił żaden przypadek zgonu, ani zdarzenie niepożądane prowadzące do całkowitego przerwania leczenia. Do najczęściej występujących ciężkich zdarzeń w analizowanych badaniach należały: gorączka, reakcje nadwrażliwości, zakażenia związane z urządzeniem, [REDAKTOWANE] i zakażenia górnych dróg oddechowych. Z kolei do najczęściej występujących ciężkich zdarzeń niepożądanych związanych z badanym lekiem należały: gorączka, reakcje związane z infuzją, reakcja anafilaktyczna [REDAKTOWANE], [REDAKTOWANE], pleozytoza, wymioty, nudności. Ciężkie AE występowały rzadziej u dzieci w wieku  $\leq 3$  lat w porównaniu ze starszymi dziećmi. Częstość i nasilenie reakcji nadwrażliwości i gorączki były większe u chorych, którzy w chwili rozpoczęcia leczenia mieli mniej niż 3 lata, w porównaniu z chorymi  $\geq 3$  lat. Zdarzenia niepożądane związane z układem sercowo-naczyniowym odnotowano u 29,2% chorych leczonych CER w badaniach 190-201/202. Żadne ze zdarzeń niepożądanych nie zostało określone jako ciężkie, a ich stopień nasilenia wynosił 1. lub 2. Do najczęściej występujących zdarzeń należały: bradykardia (cztery zdarzenia), niedociśnienie (cztery zdarzenia) i krwihak (dwa zdarzenia). W badaniu MAA w grupie chorych uczestniczących wcześniej w badaniach klinicznych, odsetek chorych, u których raportowano wystąpienie istotnych klinicznie nieprawidłowości w badaniu EKG wzrastał wraz z okresem obserwacji w badaniu, od 0% w momencie rozpoczęcia badania do 33,3% po 42 tyg. terapii. W kohorcie rozpoczynającej leczenie CER, odsetek chorych z istotnymi zmianami w badaniu EKG wzrastał od 4% na początku badania do 17% po 42 tyg.

## Wytyczne kliniczne

Odnaleziono 3 dokumenty wytycznych klinicznych opracowanych w ramach konsensusu ekspertów: Sampaio 2023, Mole 2021 oraz Williams 2017.

Wytyczne Sampaio 2023 oraz Mole 2021 wskazują cerliponazę alfa (enzymatyczna terapia zastępcza) jako jedyne dostępne leczenie przyczynowe lipofuscynozy neuronalnej typu 2. Wytyczne Sampaio 2023 zaznaczają, że cerliponaza alfa jest przeznaczona dla chorych na CLN2 w wieku  $\geq 3$  lat, z wynikiem  $\geq 3$  punktów w skali ML CLN2 i nie udowodniono skuteczności wśród chorych z wynikiem  $< 3$  punktów, a korzyści z leczenia w bardziej zaawansowanych stadiach choroby są niejasne. Leczenie powinno być zastosowane także u chorych bezobjawowych z potwierdzonym rozpoznaniem CLN2, nie istnieją jednak wystarczające dowody, by określić najlepszy czas na rozpoczęcie leczenia u tych chorych.

W dokumencie Williams 2017 cerliponazy alfa nie wymieniono jako opcji terapeutycznych, natomiast wspomniano o trwających badaniach nad enzymatyczną terapią zastępczą i terapią genową.

Jako leczenie drgawek oraz zaburzeń motorycznych towarzyszących CLN2 wszystkie wytyczne wymieniają leki przeciwpadaczkowe. Leczenie objawowe obejmuje leczenie zaburzeń snu, zachowania, oddychania oraz opieki żywieniowej.

## Problem ekonomiczny

Przeprowadzono analizę użyteczności kosztów CUA dla porównania cerliponazy alfa (CER) z najlepszą terapią wspomagającą (BSC) w dożywotnim, horyzoncie czasowym.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, zastosowanie CER w miejsce BSC jest droższe i skuteczniejsze z perspektywy NFZ. Oszacowana wartość parametru ICUR wyniosła 2 117 084 PLN/QALY. Koszt inkrementalny dla porównania kosztów leczenia CER vs BSC wyniósł .

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, zastosowanie CER w miejsce BSC jest droższe i skuteczniejsze z perspektywy wspólnej. Oszacowana wartość parametru ICUR wyniosła 2 118 569 PLN/QALY. Koszt inkrementalny dla porównania CER vs BSC wyniósł .

Wszystkie wartości oszacowanych parametrów ICUR znajdują się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy.

Przy wartościach ICUR oszacowanych w analizie podstawowej dla porównania CER vs BSC wyznaczone przez wnioskodawcę wartości progowych cen zbytu netto leku, przy których koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy wynoszą:

- z perspektywy NFZ: ;

- z perspektywy wspólnej: [REDAKOWANE].

Oszacowane wartości progowe są [REDAKOWANE] od wnioskowanej ceny zbytu netto.

Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości wskazują, że niezależnie od przyjętego wariantu ICUR znajduje się powyżej progu opłacalności, tj. nie następuje zmiana wnioskowania.

Celem analizy wpływu na budżet było oszacowanie wydatków płatnika publicznego (NFZ) w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych CER stosowanego w leczeniu chorych z ceroidolipofuscynozą neuronalną typu 2 (CLN2), w ramach programu lekowego. Prognozowana liczba pacjentów, u których CER może być zastosowana wynosi [REDAKOWANE].

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w wariantcie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją leku Brineura w ramach wnioskowanego programu lekowego w perspektywie NFZ nastąpi wzrost wydatków o ok. 69,4 mln PLN i ok. 142,5 mln PLN odpowiednio w I. i II. roku refundacji. W perspektywie wspólnej również nastąpi wzrost wydatków o ok. 69,4 mln PLN w I roku analizy i o ok. 142,5 mln PLN w II roku analizy.

W przypadku przyjęcia wariantu minimalnego analizy wrażliwości, nastąpi spadek wydatków płatnika o ok. 10% względem analizy podstawowej bez względu na perspektywę. Natomiast przyjęcie wariantu maksymalnego spowoduje wzrost wydatków płatnika o ok. 5% względem analizy podstawowej bez względu na perspektywę.

W ramach analizy wrażliwości przeprowadzonej zarówno dla wariantu prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego wynika, że największy wpływ zarówno w wariantcie minimalnym, jak i maksymalnym na spadek wydatków płatnika ma przyjęcie scenariusza uwzględniającego alternatywne źródło oszacowania liczebności obecnej populacji docelowej i nowo zdiagnozowanych chorych (tj. badanie ankietowe lub dane literaturowe).

Głównymi ograniczeniami analizy wpływu na budżet są założenia wnioskodawcy w zakresie oszacowania populacji docelowej, z uwagi na brak ogólnodostępnych krajowych rejestrów obejmujących ocenianą populację oraz przebywania części pacjentów poza granicami Polski.

#### *Rekomendacje refundacyjne*

Odnaleziono 6 rekomendacji refundacyjnych CDA-AMC 2019, HAS 2024, NICE 2026, SMC 2023, PBAC 2023 oraz G-BA 2022. Wszystkie odnalezione wytyczne, z wyjątkiem rekomendacji NICE 2026, są pozytywne / pozytywne warunkowo (CDA-AMC 2019). W rekomendacjach podkreśla się wyniki badań klinicznych, które wskazują, że zastosowanie CER w porównaniu ze standardową terapią poprawia funkcje motoryczne oraz językowe pacjentów, a także przyczynia się do spowolnienia progresji choroby. W wytycznych zwraca się również uwagę na wysoką cenę leku.

Lek Brineura w Szkocji oraz Nowej Zelandii refundowany jest w ramach specjalnych ścieżek dostępu, tj. ścieżki ultra-orphan w przypadku SMC i programu leków ratujących życie w przypadku PHARMAC. W szkockiej rekomendacji wskazano, iż planowana jest ponowna ocena leku po 3 latach od wydania decyzji (listopad 2026 r.).

Kanadyjska Agencja CADTH 2019 wydała rekomendację pozytywną pod warunkiem spełnienia przez pacjentów określonych kryteriów włączenia (m.in. potwierdzona diagnoza choroby CLN2 na podstawie aktywności enzymu TPP1 oraz analizy genotypu CLN2, uzyskanie  $\geq 1$  punktu w każdej z domen funkcji motorycznych oraz językowych w skali oceny klinicznej CLN2, uzyskanie skumulowanego wyniku w domenach funkcji motorycznych i językowych na poziomie  $\geq 3$  punktów w skali CLN2), ale również obniżenia ceny.

Na stronie irlandzkiej Agencji NCPE odnaleziono informację, iż pierwotnie wydano negatywną decyzję ws. refundacji leku Brineura, niemniej po negocjacjach cenowych dopuszczono lek do refundacji.

Pierwsza ocena leku Brineura przez NICE miała miejsce w 2019 r. Wówczas decyzja o refundacji leku była pozytywna, niemniej w 2026 r., NICE dokonał ponownej oceny. Komitet biorąc pod uwagę rzadkość i ciężkość schorzenia oraz wpływ cerliponazy alfa na jakość i długość życia, a także zaproponowaną cenę leku, stwierdził, że najbardziej prawdopodobna ocena opłacalności nie mieści się w tym, co NICE uważa za akceptowalne wykorzystanie zasobów NHS dla wysoko wyspecjalizowanych technologii. W związku z tym cerliponaza alfa dostała negatywną rekomendację. W rekomendacji zwrócono też uwagę, że cerliponaza alfa spowalnia postęp CLN2, jest przełomowym lekiem, ale brakuje dowodów na jej działanie w dłuższej perspektywie.

W ocenie HAS 2024 Brineura wykazuje umiarkowaną dodatkową wartość kliniczną w ścieżce leczenia CLN2.

PBAC 2023 w swojej ocenie wskazał, że cerliponaza alfa powinna wciąż być finansowana w ramach programu leków ratujących życie, bez zmian kryteriów kwalifikacji. Eksperti zalecili przeprowadzenie ponownej oceny cen cerliponazy alfa w celu uzyskania lepszego stosunku jakości do ceny po wygaśnięciu umowy z wnioskodawcą.

G-BA 2022 stwierdził klinicznie istotną dodatkową korzyść ze stosowania cerliponazy w zakresie śmiertelności oraz funkcji motorycznych i językowych w porównaniu ze standardowym leczeniem (dane historyczne).

#### Główne argumenty decyzji

- Niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Konieczność podjęcia wczesnej interwencji;
- Niska jakość badań klinicznych i brak danych odległych;

- *Technologia nie jest efektywna kosztowo i wiąże się z wysokim poziomem wydatków płatnika publicznego;*
- *Pozytywne rekomendacje refundacyjne w wielu krajach europejskich.*

**Uwagi Rady:**

- *Konieczne jest dalsze monitorowanie wyników 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 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.4131.2.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Brineura (cerliponaza alfa) w ramach nowego programu lekowego: »Leczenie pacjentów z lipofuscynozą neuronalną typu 2 (ICD-10: E75.4)«”, data ukończenia: 19 czerwca 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

## KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy BioMarin International Limited.*

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (BioMarin International Limited) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902 ) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** BioMarin International Limited.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 81/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku  
w sprawie oceny leku Mounjaro KwikPen (tirzepatydum) w ramach  
programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:*

- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 15 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973253,
- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 12,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973246,
- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 10 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973239,
- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 7,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973222,
- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973215,
- Mounjaro KwikPen (tirzepatydum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 2,5 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 05907677973208,

*w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”,  
w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.*

*Rada Przejrzystości uznaje za warunek konieczny wdrożenie instrumentu  
dzielenia ryzyka.*

*Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego.*

- 1. zasadne jest zawężenie programu dla pkt B: otyłość olbrzymia z BMI>40 i powikłaniami zagrażającymi życiu;*
- 2. pkt A nie znajduje uzasadnienia limitu dla wieku i jest dyskryminujący;*



3. zasadne jest wykluczenie z udziału w programie pacjentów, którzy po 6 miesiącach leczenia nie osiągną co najmniej 5% redukcji masy ciała.

#### **Uzasadnienie**

##### Problem decyzyjny

Otyłość (BMI >30) to choroba cywilizacyjna i każdego roku, także w Polsce, odsetek osób z nieadekwatnie wysoką masą ciała stale rośnie niosąc za sobą istotne implikacje kliniczne. Otyłość jest jedną z głównych przyczyn i istotnym elementem wielu chorób układu sercowo-naczyniowego, które są główną przyczyną zgonów w Polsce.

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Mounjaro KwikPen (tirzepatyd, roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Mounjaro KwikPen jest zawężone względem wskazania rejestracyjnego.

##### Dowody naukowe

Dostępne dowody naukowe z badań klinicznych wskazują na istotną skuteczność leczenia tirzepatydem w populacji ogólnej i predefiniowanych podgrupach chorych. Do oceny skuteczności klinicznej TZP względem PLC dodanych do leczenia modyfikacją stylu życia (obniżona kaloryczność posiłków i zwiększenie aktywności fizycznej) wykorzystano:

- badanie SURMOUNT-1 (leczenie 72 tyg.) z populacją ogólną (grupy: TZP 15 mg, n=630 pacj, TZP 10 mg, n= 636 pacj.; 5 mg, n= 630 pacj; PLC, n=643 pacj.),
- badanie SURMOUNT-1 (leczenie 176 tyg) subpopulacja ze stanem przedcukrzycowym (grupy: TZP 15 mg, n=253 pacj, TZP 10 mg, n= 262 pacj.; 5 mg, n= 247 pacj; PLC, n=270 pacj.),
- badanie SURMOUNT-3 (leczenie 72 tyg.) z wdrożeniem zintensyfikowanego programu modyfikacji stylu życia (grupy: TZP w maksymalnie tolerowanej dawce, n= 287 pacj; PLC, n=292 pacj.);
- badania SURMOUNT-OSA (leczenie 52 tyg.) w populacji pacjentów z obturacyjnym bezdechem sennym, z grupami pacjentów, którzy nie stosowali terapii PAP (PAP(-), SURMOUNT-OSA-1, TZP MTD n=114 pacj.; PLC n=120 pacj.) oraz stosujących terapię PAP (PAP(+); SURMOUNT-OSA-2, TZP MTD n=120 pacj.; PLC n=115 pacj.).



*Średnia zmiana masy ciała (%):*

- *SURMOUNT-1 (estymand TRE)*
  - Wynik [95% CI] – TZP 5 mg: -15,0 [-15,9; -14,2]; TZP 10 mg: -19,5 [-20,4; -18,5]; TZP 15 mg -20,9: [-21,8; -19,9]; PLC: -3,1 [-4,3; -1,9]
  - Różnica [95% CI] (vs PLC): TZP 5 mg: -11,9 [-13,4; -10,4] ( $p<0,001$ ); TZP 10 mg: -16,4 [-17,9; -14,8] ( $p<0,001$ ); TZP 15 mg: -17,8 [-19,3; -16,3] ( $p<0,001$ );
- *SURMOUNT-1 PDM (estymand TRE)*
  - Wynik [95% CI] – TZP 5 mg: -12,3 [-14,5; -10,2]; TZP 10 mg: -18,7 [-24,1; -13,4]; TZP 15 mg: -19,7 [-22,1; -17,3]; PLC: -1,3 [-4,0; 1,5]
  - Różnica [95% CI] (vs PLC): TZP 5 mg -11,1 [-14,4; -7,8] ( $p<0,001$ ); TZP 10 mg: -17,5 [-23,6; -11,3] ( $p<0,001$ ); TZP 15 mg: -18,4 [-22,2; -14,7] ( $p<0,001$ );
- *SURMONUT-3 (estymand TRE)*
  - Wynik [95% CI] – TZP MTD: -18,4 (SE: 0,7); PLC 2,5 (SE: 1,0);
  - Różnica [95% CI] (vs PLC): -20,8 [-23,2; -18,5] ( $p<0,001$ );
- *SURMOUNT-OSA (estymand TRE)*
  - Wynik [95% CI] – PAP(-): TZP MTD: -17,7 [-19,0 -16,3]; PLC: -1,6 [-2,9; -0,2]; PAP(+): TZP MTD: -19,6 [-21,0; -18,2]; PLC: -2,3 [-3,8; -0,9]
  - Różnica [95% CI] (vs PLC): PAP(-): -16,1 [-18,0; -14,2] ( $p<0,001$ ); PAP(+): -17,3 [-19,3; -15,3] ( $p<0,001$ )

*Odsetek pacjentów z redukcją masy ciała  $\geq 5\%$ :*

- *SURMOUNT-1 (estymand TRE)*
  - Wynik – TZP 5 mg: 85,1%; TZP 10 mg: 88,9%; TZP 15 mg: 90,9%; PLC: 34,5%
  - OR [95% CI] (vs PLC): TZP 5 mg – 2,46 [2,04; 2,98], ( $p<0,001$ ); TZP 10 mg: 2,57 [2,13; 3,11], ( $p<0,001$ ); TZP 15 mg: 2,63 [2,18; 3,19], ( $p<0,001$ );
- *SURMOUNT-1 PDM (estymand TRE)*
  - Wynik – TZP 5 mg 78%; TZP 10 mg 85%; TZP 15 mg 87%; PLC 29%
  - OR [95% CI] (vs PLC): TZP 5 mg: 8,29 [5,57; 12,34]; TZP 10 mg: 13,18 [8,61; 20,18]; TZP 15 mg: 15,83 [10,1; 24,82];
- *SURMONUT-3 (estymand TRE)*
  - Wynik – TZP MTD: 88%; PLC 16%;
  - OR [95% CI] (vs PLC): 34,6 [19,2; 62,6], ( $p<0,001$ );

### Średnia zmiana poziomu HbA1c (%)

- SURMOUNT-1 (estymand TRE)
  - Różnica [95% CI] (vs PLC): TZP 5 mg: -0,3 [-0,3; -0,2], ( $p < 0,001$ ); TZP 10 mg: -0,4 [-0,4; -0,3], ( $p < 0,001$ ); TZP 15 mg: -0,4 [-0,4; -0,3], ( $p < 0,001$ );
- SURMOUNT-1 PDM (estymand EE) – 176 tyg.
  - Różnica [95% CI] vs PLC: TZP 5 mg: -0,36 [-0,42; -0,29], ( $p < 0,001$ ); TZP 10 mg: -0,44 [-0,51; -0,38], ( $p < 0,001$ ); TZP 15 mg: -0,50 [-0,57; -0,44], ( $p < 0,001$ );

### • SURMONUT-3 (estymand EE)

- Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: -0,5 [-0,5; -0,4], ( $p < 0,001$ );

### Parametry oddechowe i zaburzenia snu – badanie SURMOUNT-OSA

- Bezwzględna zmiany liczby bezdechów (AHI) w ciągu godziny (liczba zdarzeń/godz.), (estymand TRE)
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): -20,0 [-25,8; -14,2] ( $p < 0,001$ ); PAP(+): -23,8 [-29,6; -17,9] ( $p < 0,001$ );
- Względna AHI w ciągu godziny (zmiana %), (estymand TRE)
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): -47,7 [-65,8; -29,6] ( $p < 0,001$ ); PAP(+): -56,2 [-73,7; -38,7] ( $p < 0,001$ );
- Odsetek pacjentów z redukcją zdarzeń AHI o  $\geq 50\%$ , (estymand TRE)
  - TZP MTD vs PLC: PAP(-): 61% vs 19%, RR=3,3 [2,1; 5,1] ( $p < 0,001$ ); PAP(+): 72% vs 23%, RR=3,1 [2,1; 4,5] ( $p < 0,001$ );
- Zmiana wpływu zaburzeń snu na codzienne funkcjonowanie (kwestionariusz PROMIS-SRI), (estymand TRE)
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): -3,4 [-5,7; -1,2] ( $p < 0,05$ ); PAP(+): -4,3 [-7,0; -1,6] ( $p < 0,01$ );
- Zmiana jakości i ilości snu (kwestionariusz PROMIS-SD), (estymand TRE)
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): -2,0 [-4,0; -0,1] ( $p < 0,05$ ); PAP(+): -3,9 [-6,2; -1,6] ( $p < 0,01$ );
- Zmiana nasilenia senności dziennej (kwestionariusz ESS)
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): -1,4 [-2,5; -0,3] ( $p < 0,05$ ); PAP(+): -0,9 [-2,1; 0,2] (ns);
- Zmiana jakości życia w zakresie poziomu aktywności (FOSQ) – wynik całkowity
  - Różnica [95% CI] TZP MTD vs PLC: PAP(-): 0,6 [-0,1; 1,2] (ns); PAP(+): 0,3 [-0,1; 0,8] (ns);

- *Odsetek pacjentów z Liczba AHI <5 lub 5-14 zdarzeń/godz. z ESS ≤10, (estymand TRE)*
  - *TZP MTD vs PLC: PAP(-): 42% vs 16%, RR=2,9 [1,8; 4,8] (p<0,001); PAP(+): 50% vs 14%, RR=3,3 [2,0; 5,4] (p<0,001);*

*W badaniu Wu 2025 analizowano populację pacjentów z otyłością i OSA stosujących TZP lub leczenie modyfikacją stylu życia. Stosowanie TZP wiązało się z istotnie statystycznie niższą śmiertelnością z jakiejkolwiek przyczyny oraz niższą częstością poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych (MACE), a także z redukcją ryzyka poważnych zdarzeń nerkowych (MAKE) w porównaniu z SOC.*

*Wyniki były spójne w analizach podgrup. Przewagę TZP nad SOC potwierdzono zarówno wśród pacjentów z BMI 30–<40 kg/m<sup>2</sup>, jak i ≥40 kg/m<sup>2</sup>, a także w populacji bez cukrzycy typu 2. Analiza przeżycia wykazała niższą skumulowaną częstość zgonów w grupie TZP w porównaniu z SOC (p<0,001).*

*W badaniu SURMOUNT-1 w populacji ogólnej z programem standardowym modyfikacji stylu życia stosowanie TZP w dawkach 5, 10 oraz 15 mg wiązało się z podwyższonym ryzykiem wystąpienia zdarzeń niepożądanych ogółem oraz związanych z leczeniem w porównaniu z PLC. Istotnie częstsze zaprzestanie terapii z powodu AEs odnotowano w przypadku dawek 10 i 15 mg TZP, względem grupy PLC. Nie było różnic między grupami w zakresie występowania ciężkich AEs, zgonów, AEs prowadzących do utraty z badania.*

*Najczęściej zgłaszano dolegliwości dotyczące układu pokarmowego (nudności, biegunka, zaparcia, dyspepsja, wymioty, zmniejszenie apetytu i odbijanie), które istotnie częściej raportowano w grupie TZP (niezależnie od dawki) niż w grupie PLC. Zgodnie z informacją podaną przez autorów badania, zdarzenia te były przemijające i miały łagodny lub umiarkowany przebieg, i występowały głównie w okresie eskalacji. Ciężkie lub poważne zdarzenia żołądkowo-jelitowe występowały istotnie częściej w grupach stosujących dawki 10 i 15 mg TZP w porównaniu do grupy PLC. Istotnie częściej dla TZP występowały również łysienie, reakcja w miejscu wstrzyknięcia i hipoglikemia (wszystkie dawki) oraz zawroty głowy (dawka 10 mg). Ponadto w badaniu odnotowano, że leczenie TZP w dawce 15 mg wiązało się z istotnie mniejszym odsetkiem poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych (MACE) w porównaniu z PLC (RR = 0,09 [0,01; 1,67, NNT = 129 [66; 2961]]).*

*Wytyczne kliniczne*

Dokumenty wytycznych zalecają stosowanie farmakoterapii w połączeniu z dietą niskokaloryczną i zwiększoną aktywnością fizyczną. Wytyczne, w tym m.in. polskie wytyczne PTLO 2024, zalecają leczenie farmakologiczne u chorych z BMI  $\geq 30$  kg/m<sup>2</sup> lub z BMI  $\geq 27$  kg/m<sup>2</sup> i z  $\geq 1$  powikłaniem/schorzeniem, u których leczenie niefarmakologiczne nie przyniosło efektu terapeutycznego. Wśród możliwych do zastosowania leków najczęściej wskazują się m.in. tirzepatyd, leki z grupy analogów GLP-1 oraz orlistat. Tirzepatyd jest najczęściej wymieniany w kontekście leczenia otyłości ze współistniejącym OŚA, PDM, cukrzycą typu 2, chorobą sercowo-naczyniową, stłuszczeniowym zapaleniem wątroby. Część dokumentów zaznacza, że leczenie, jeśli jest skuteczne, powinno być długoterminowe w celu utrzymania korzyści leczenia i zapobieżenia ponownemu przyrostowi masy ciała. Wytyczne PTLO 2024 wskazują, że leczenie powinno trwać optymalnie  $\geq 12$  miesięcy i należy je dostosować do indywidualnych potrzeb pacjenta, [...] część pacjentów chorujących na otyłość wymaga stosowania przewlekłej terapii, i farmakoterapię należy stosować tak długo, jak tylko jest potrzebna, skuteczna i dobrze tolerowana. ADA 2026 wskazano, że po osiągnięciu celów terapeutycznych należy kontynuować przyjmowanie leków przeciw otyłości, aby utrzymać korzyści zdrowotne.

Wytyczne NICE 2026 wskazują, że należy rozważyć zakończenie farmakoterapii po 6 miesiącach nieskutecznej terapii tirzepatydem (nie uzyskano  $\geq 5\%$  redukcji masy ciała stosowania w MTD).

#### Problem ekonomiczny

Refundacja tirzepatydu we wnioskowanych wskazaniach będzie się wiązać ze wzrostem kosztów inkrementalnych płatnika o nawet kilkaset milionów PLN rocznie.

#### Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje pozytywne. W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na wykazaną w dostępnych badaniach klinicznych skuteczność. We wszystkich rekomendacjach stosowanie tirzepatydu ma stanowić uzupełnienie postępowania do diety niskokalorycznej i zwiększonej aktywności fizycznej, dodatkowo w dwóch dokumentach rekomendowane wskazanie zawiera ograniczenie do co najmniej jednej choroby współistniejącej (SMC 2024 i NICE 2026) oraz w dwóch ograniczenie o początkowym BMI wynoszącym  $\geq 35$  kg/m<sup>2</sup> (NICE 2026 i HAS 2025; w SMC 2024 ograniczenie BMI wynosi  $\geq 30$  kg/m<sup>2</sup>).

### Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba kliniczna;*
- *Wyniki badań naukowych potwierdzające wysoką skuteczność tirzepatydu;*
- *Rekomendacje i zalecenia towarzystw naukowych;*
- *Bardzo duże obciążenie płatnika publicznego w wyniku pozytywnej decyzji refundacyjnej.*

### **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 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.4131.4.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Mounjaro KwikPen (tirzepatyd) we wskazaniu: Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”, data ukończenia: 19 czerwca 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawicieli pacjentów przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



## Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 82/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku

w sprawie oceny leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Keytruda (pembrolizumab), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 25 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 05901549325126, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32)”.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*KEYTRUDA (pembrolizumab) jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, które wiąże się z receptorem programowanej śmierci komórki 1 (PD-1) i blokuje jego interakcję z ligandami PD-L1 i PD-L2. Receptor PD-1 jest negatywnym regulatorem aktywności limfocytów T i wykazano, że jest zaangażowany w kontrolowanie odpowiedzi immunologicznej limfocytów T. KEYTRUDA wzmacnia odpowiedź limfocytów T, w tym odpowiedź przeciwnowotworową.*

*Celem wniosku refundacyjnego jest rozszerzenie istniejącego programu lekowego B.52. Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32) o pacjentów z resekcyjnym, nieprzerzutowym rakiem płaskonabłonkowym obszaru głowy i szyi, którzy kwalifikują się do immunoterapii okołoperacyjnej. Aktualnie, w ramach programu lekowego B.52 refundowane jest leczenie immunoonkologiczne pembrolizumabem (PEM) oraz niwolumabem u pacjentów z nawrotowym lub przerzutowym płaskonabłonkowym rakiem obszaru głowy*

i szyi. Wnioskowane rozszerzenie programu lekowego polega więc na wprowadzeniu pembrolizumabu do leczenia okołooperacyjnego, tj. jako terapii stosowanej na wcześniejszym etapie choroby.

W konsekwencji, wprowadzenie immunoterapii okołooperacyjnej zmieni kontekst stosowania obecnie refundowanych terapii immunologicznych w chorobie nawrotowej lub przerzutowej. U części pacjentów, u których po zakończeniu leczenia okołooperacyjnego wystąpi nawrót choroby lub przerzuty, zastosowanie pembrolizumabu albo niwolumabu w ramach dalszego leczenia systemowego będzie oznaczało ponowne zastosowanie immunoterapii, a nie jak dotychczas – zastosowanie pierwszorazowe.

#### Dowody naukowe

Wnioskodawca oparł analizę kliniczną na jednym, randomizowanym badaniu III fazy KEYNOTE-689 (Uppaluri i wsp. NEJM 2025) oceniającym okołooperacyjne stosowanie pembrolizumabu w skojarzeniu ze standardowym leczeniem, względem samego standardowego leczenia u pacjentów z operacyjnym, miejscowo zaawansowanym płaskonabłonkowym rakiem głowy i szyi. W ramach przeglądu systematycznego nie zidentyfikowano innych badań pierwotnych odpowiadających wnioskowanemu wskazaniu, co ogranicza możliwość porównania wyników pomiędzy niezależnymi źródłami oraz uniemożliwia przeprowadzenie ilościowej syntezy wyników.

W badaniu KEYNOTE-689 wykazano istotną statystycznie poprawę przeżycia wolnego od zdarzeń (EFS) w grupie PEM+SoC w porównaniu z SoC. Korzyść dotyczyła złożonego punktu końcowego obejmującego progresję choroby uniemożliwiającą leczenie radykalne, nawrót miejscowy lub odległy oraz zgon.

W populacji CPS  $\geq 1$  w grupie PEM+SoC odnotowano mniej zdarzeń EFS niż w grupie SoC, co odpowiadało około 30% względnemu zmniejszeniu ryzyka/hazardu wystąpienia zdarzenia. W analizie bezwzględnych częstości zdarzeń odsetek pacjentów, u których wystąpiło zdarzenie EFS, był mniejszy w grupie PEM+SoC niż w grupie SoC; NNT=11. Również częstość występowania przerzutów odległych była mniejsza w grupie PEM+SoC, z NNT=13.

Należy jednak podkreślić, że nie wszystkie składowe złożonego punktu końcowego wykazały osobno istotną statystycznie różnicę między ramionami badania. Różnice w zakresie miejscowej progresji lub nawrotu, jednoczesnej miejscowej i odległej progresji lub nawrotu oraz zgonu nie osiągnęły istotności statystycznej.

*Do głównych ograniczeń analizy klinicznej należy zaliczyć:*

- niedojrzałość części danych dotyczących skuteczności, zwłaszcza przeżycia całkowitego, dla którego mediany (czas, po którym zmarło 50% pacjentów w którymkolwiek z ramion badania) nie zostały jeszcze osiągnięte w czasie pierwszej analizy okresowej;*
- brak pełnej publikacji wyników dotyczących jakości życia, mimo że punkty końcowe PRO (ang. patient reported outcomes, PROs) były predefiniowane w protokole badania;*
- część danych badawczych pochodziła z doniesień konferencyjnych, co ogranicza możliwość pełnej oceny metodologicznej i zwiększa ryzyko niepełnego raportowania wyników;*
- nie odnaleziono badań porównujących efektywność praktyczną PEM+SoC i SoC.*

*Podsumowując, dane naukowe na temat klinicznych korzyści okołooperacyjnego zastosowania pembrolizumabu w płaskonabłonkowym raku głowy i szyi są obiecujące, ale jeszcze niekompletne.*

*Wytyczne kliniczne*

*Jak dotąd, do omawianej opcji terapeutycznej nawiązują tylko wytyczne NCCN z 2026 r. Wskazują one na możliwość stosowania leczenia skojarzonego. Może ono obejmować zabieg chirurgiczny, radioterapię oraz chemioterapię. W zależności od sytuacji klinicznej możliwe jest także okołooperacyjne zastosowanie pembrolizumabu lub jego pominięcie. Decyzja zależy od lokalizacji guza, stopnia zaawansowania choroby oraz stanu ogólnego pacjenta.*

*W odniesieniu do wskazań objętych programem lekowym, czyli leczenia płaskonabłonkowego raka:*

- ustnej części gardła w stopniu III T4 (N0–N2) p16+,*
- ustnej części gardła w stopniu III/IVA p16–,*
- jamy ustnej, krtaniowej części gardła lub krtani w stopniu III/IVA (z wykluczeniem raka typu nosogardłowego),*

*zalecanym postępowaniem jest leczenie skojarzone: połączenie leczenia operacyjnego z radioterapią, chemioterapią oraz immunoterapią z wykorzystaniem pembrolizumabu. Preferowane są schematy z wykorzystaniem cisplatyny – zarówno w monoterapii, jak i w skojarzeniu z innymi lekami.*



### Problem ekonomiczny

Wyniki analizy wpływu na budżet wykazały, że objęcie refundacją pembrolizumabu w ramach leczenia okołooperacyjnego raka głowy i szyi związane byłoby z dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego. Przy uwzględnieniu wariantu z RSS, dodatkowe wydatki płatnika publicznego wynosiłyby [REDACTED] i [REDACTED], odpowiednio w I i II roku analizy.

Uwzględnienie kosztów kolejnych linii leczenia w modelu wpłynęło na zwiększenie prognozowanych wydatków NFZ, w I i II roku analizy, odpowiednio o [REDACTED] w wariantcie uwzględniającym RSS, w stosunku do wariantu podstawowego.

### Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 2 rekomendacje pozytywne (NICE 2026, CDA 2025), w tym 1 warunkową (CDA 2025). W rekomendacjach zwraca się uwagę na wydłużenie przeżycia i czasu do pogorszenia się stanu pacjenta. W rekomendacji warunkowej wskazano na konieczność obniżenia ceny leku, a także wskazano, iż pembrolizumab powinien być stosowany u pacjentów z nowozdiagnozowanym płaskonabłonkowym rakiem głowy i szyi (wyjątki mogą stanowić pacjenci z resekcijną wznową po  $\geq 6$  mies. po wcześniejszym leczeniu) i w stosunkowo dobrym stanie sprawności.

W omawianej opcji terapeutycznej, Keytruda (pembrolizumab) jest finansowany w 2 krajach (Grecja i Luksemburg) UE i EFTA (na 30 wskazanych).

### Główne argumenty decyzji

- Niekompletne dane naukowe na temat skuteczności okołooperacyjnej terapii pembrolizumabem w płaskonabłonkowym raku głowy i szyi. (Brak danych naukowych na temat wpływu okołooperacyjnej terapii pembrolizumabem na całkowite przeżycie chorych. Brak pełnej publikacji wyników dotyczących jakości życia).
- Znaczne zwiększenie obciążenia budżetu płatnika.
- W takiej opcji terapeutycznej lek jest refundowany jedynie w 2 spośród 30 krajów UE i EFTA.

**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 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Keytruda (pembrolizumab) w ramach programu lekowego: »Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32)«”, data ukończenia: 18 czerwca 2026 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (MSD Polska Dystrybucja 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:** MSD Polska Dystrybucja Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 83/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku  
w sprawie oceny leku Izamby (denosumabum) we wskazaniu  
dot. leczenia osteoporozy

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Izamby (denosumabum), roztwór do wstrzykiwań, 60 mg/ml, 1 amp.-strz. po 1 ml., GTIN: 08436596260207, we wskazaniu: leczenie osteoporozy u kobiet po menopauzie oraz u mężczyzn, u których występuje zwiększone ryzyko złamań (definiowane jako T-score mniejsze lub równe -2,5 lub wystąpienie złamania osteoporotycznego), w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością ryczałtową 30%, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.*

**Uzasadnienie**

*Problem decyzyjny*

*Wniosek dotyczy rozszerzenia wskazania refundacyjnego dla leku Izamby względem obecnie występujących zapisów polegającego na:*

- zniesieniu kryterium wieku oraz niepowodzenia leczenia doustnymi bisfosfonianami lub z przeciwwskazaniami (nietolerancją) do ich stosowania.*

*Aktualnie lek Izamby (denosumab) jest refundowany z poziomem odpłatności 30%, w ramach wykazu A1 (Leki refundowane dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym), we wskazaniach:*

- osteoporoza pomenopauzalna (T-score mniejsze lub równe -2,5 mierzone metodą DXA lub wystąpienie złamania osteoporotycznego) u kobiet w wieku powyżej 60 lat, po niepowodzeniu leczenia doustnymi bisfosfonianami lub z przeciwwskazaniami (nietolerancja) do ich stosowania;*

- *osteoporoza (T-score mniejsze lub równe -2,5 mierzone metodą DXA lub wystąpienie złamania osteoporotycznego) u mężczyzn w wieku powyżej 60 lat, po niepowodzeniu leczenia doustnymi bisfosfonianami lub z przeciwwskazaniami (nietolerancja) do ich stosowania.*

*Osteoporoza jest chorobą szkieletu charakteryzującą się ubytkiem masy kostnej, zaburzeniami mikroarchitektury kości oraz pogorszeniem jakości tkanki kostnej. Prowadzi to do osłabienia ich wytrzymałości i w następstwie do złamań pod wpływem niewielkich tzw.iskoenergetycznych urazów. Według danych NFZ, estymowana liczba osób chorych na osteoporozę w Polsce w roku 2024 wyniosła 2,25 mln osób z czego 1,83 mln (81%) stanowią kobiety.*

*Alternatywnymi technologiami stosowanymi w leczeniu osteoporozy, zgodnie z opiniami ekspertów i wytycznymi towarzystw naukowych, są: alendronian, ryzedronian, ibandronian, kwas zoledronowy, teryparatyd, abaloparatyd i romosuzomab. Ibandronian, teryparatyd oraz abaloparatyd nie są w Polsce objęte refundacją ze środków publicznych, a kwas zoledronowy nie jest objęty refundacją we wskazaniu zgodnym z przedmiotem oceny. Romosozumab jest aktualnie finansowany w ramach programu lekowego B.160. Dlatego alendronian i ryzedronian stanowią właściwy komparator dla ocenianej interwencji.*

*Denosumab jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym (IgG2), skierowanym przeciwko RANKL oraz wiążącym się z dużym powinowactwem i swoistością z tym ligandem, zapobiegając aktywacji jego receptora, RANK, na powierzchni prekursorów osteoklastów i osteoklastów. Zapobieganie interakcji RANKL/RANK hamuje powstawanie, funkcjonowanie i przeżycie osteoklastów, zmniejszając w ten sposób resorpcję kości korowej i beleczkowej.*

*Bisfosfoniany są prostymi związkami chemicznymi, pochodnymi kwasu pirofosforowego. Są one wydalane są przez nerki, zatem (zwłaszcza dożylne) nie mogą być stosowane w niewydolności nerek (GFR< 30ml/min dla ibandronianu i GFR< 40ml/min dla zoledronianu). Kluczowym elementem działania bisfosfonianów jest ich fizyko-chemiczne powinowactwo do hydroksyapatytu kości. Powodują one zmniejszenie jego rozpuszczalności, co utrudnia adhezję i następnie resorpcję kości przez osteoklasty. Aktywność osteoklastów jest obniżona wtórnie, gdy bisfosfonian jest resorbowany z hydroksyapatytem kości. Powoduje to trwałe uszkodzenie metabolizmu komórkowego osteoklasta.*

*Denosumab* podawany jest podskórnie a bifosfoniany najczęściej stosuje się doustnie, co wiąże się z ryzykiem powikłań ze strony przewodu pokarmowego.

#### Dowody naukowe

Analiza skuteczności klinicznej denosumabu w ramach AKL wnioskodawcy została oparta na wynikach jednego badania RCT, sześciu badań RWE, porównania pośredniego metodą metaanalizy sieciowej (NMA) wykonanego przez wnioskodawcę oraz wynikach 8 przeglądów systematycznych.

#### Porównanie bezpośrednie DEN vs ALN (badanie DIRECT) – populacja kobiet i mężczyzn

W ramach AKL wnioskodawca przedstawił wyniki badania RCT wyłącznie dla bezpośredniego porównania skuteczności leczenia denosumabem vs alendronianem. Dodatkowo w badaniu DIRECT pacjenci otrzymywali mniejszą dawkę alendronianu (35 mg/tygodniowo) w stosunku do dawki zalecanej w Polsce (70 mg/tygodniowo), a jego populacja obejmowała wyłącznie pacjentów japońskich, co ograniczona możliwość uogólnienia wyników na populację polską. Ponadto projekt badania zakładał porównanie DEN vs ALN wyłącznie w formie analizy post-hoc. Porównanie DEN vs ALN miało charakter eksploracyjny i nie było zaplanowane w protokole.

W zakresie punktów końcowych dotyczących złamań, IS różnice na korzyść ocenianej interwencji odnotowano dla złamań kręgow nowych lub pogorszenia istniejących [HR=0,466 (95%CI: 0,236; 0,923), p=0,0251] oraz nowych złamań kręgow [HR=0,416 (95%CI: 0,180; 0,962), p=0,0344]. Dla punktów końcowych dotyczącego nowych złamań pozakręgowych, zarówno dużych, jak i niedużych nie wykazano IS różnicy dla porównania DEN vs ALN.

Jednym z dodatkowych punktów końcowych ocenianych w badaniu była zmiana gęstości mineralnej kości (BMD). Większą procentową zmianę BMD dla wszystkich obszarów pomiaru odnotowano w grupie pacjentów stosujących terapię denosumabem względem grupy pacjentów stosujących alendronian. Największą różnicę na korzyść ocenianej interwencji wykazano w zakresie procentowej zmiany BMD w ocenie kręgołupa lędźwiowego [MD=1,60 (95% CI: 0,88; 2,32)].

Wyniki badania DIRECT wskazują na brak IS różnic w ogólnym profilu bezpieczeństwa terapii denosumabem względem stosowania alendronianu.

Wśród AEs specjalnego zainteresowania najczęściej występującym były zakażenia, które wystąpiły u zbliżonego odsetka pacjentów stosujących denosumab (60,2%) i alendronian (54,1%). Istotną statystycznie różnicę

na niekorzyść ocenianej interwencji odnotowano jedynie w zakresie ryzyka występowania zaburzeń układu sercowo-naczyniowego [RR = 1,65 (95% CI: 1,04; 2,62), RD = 0,06 (95% CI: 0,01; 0,10), NNH = 18 (95% CI: 10; 112)] oraz bakteryjnego zapalenia tkanki łącznej [RD = 0,01 (95% CI: 0,00; 0,02); NNH = 80 (95% CI: 41; 1333), natomiast w odniesieniu do parametru RR różnica pomiędzy grupami nie była istotna statystycznie].

Ciężkie zdarzenia niepożądane specjalnego zainteresowania wystąpiły u mniej niż 2% pacjentów w obu ramionach badania. Nie odnotowano również IS różnic w ryzyku ich wystąpienia wśród pacjentów leczonych DEN vs ALN.

#### Porównanie bezpośrednie DEN vs ALN/RIS (badania RWE)

Spośród 6 badań RWE zidentyfikowanych przez wnioskodawcę trzy dotyczyły porównania skuteczności leczenia DEN vs ALN (Curtis 2024, Everts-Graber 2023, Pedersen 2019), jedno porównywało skuteczność DEN vs ALN oraz DEN vs RIS (Imai 2023), a dwa porównywały skuteczność stosowania denosumabu vs doustne bisfosfoniany (DEN vs ALN i/lub RIS) (Tai 2023, Behanova 2019).

#### • Porównanie DEN vs ALN

Badanie Curtis 2024 wykazało IS różnice na korzyść ocenianej interwencji, we wszystkich analizowanych okresach obserwacji dla następujących punktów końcowych: poważne złamania osteoporotyczne, złamania pozakręgowe oraz złamania pozakręgowe z wyłączeniem biodra. Redukcja ryzyka wystąpienia poważnego złamania osteoporotycznego, złamania pozakręgowego i złamania pozakręgowego z wyłączeniem biodra wyniosła odpowiednio dla najdłuższego okresu obserwacji 39% [RR = 0,61 (95%CI: 0,48; 0,74),  $p < 0,05$ ], 43% [RR = 0,57 (95%CI: 0,48; 0,74),  $p < 0,05$ ] oraz 32% [RR = 0,68 (95%CI: 0,57; 0,78),  $p < 0,05$ ]. Dla punktu końcowego dotyczącego złamań kręgów wymagających hospitalizacji oraz złamań biodra IS różnica na korzyść ocenianej interwencji nie została wykazana dla wszystkich okresów obserwacji.

W badaniu Everts-Graber 2023 w analizie z użyciem metody IPTW istotną statystycznie przewagę DEN względem ALN odnotowano dla punktu końcowego dotyczącego złamania pozakręgowego [HR = 0,38 (95%CI: 0,29; 0,50)], złamania biodra [HR = 0,54 (95%CI: 0,29; 0,98)], złamania kręgów [HR = 0,37 (95%CI: 0,28; 0,49)] oraz złamania ogółem [HR = 0,38 (95%CI: 0,31; 0,47)]. Natomiast w badaniu Pedersen 2019 analiza w zakresie ryzyka wystąpienia złamań biodra oraz złamań ogółem, z wykorzystaniem metody IPTW, nie wykazała IS różnic wśród pacjentów stosujących DEN vs ALN.

Dodatkowo, badanie Imai 2023 wskazuje na IS mniejszą częstość występowania złamań trzonu kości udowej dla porównania DEN vs ALN [IRR = 0,86 (95%CI: 0,77; 0,96)], ale także zwiększoną częstość występowania wszystkich złamań kości udowej [IRR = 1,15 (95%CI: 1,11; 1,18)].

- *Porównanie DEN vs RIS*

Badanie Imai 2023 wskazuje na IS częstsze występowanie złamań trzonu kości udowej oraz wszystkich złamań kości udowej wśród pacjentów stosujących denosumab względem pacjentów stosujących ryzedronian.

- *Porównanie DEN vs ALN i/lub RIS*

W badaniu Tai 2023 odnotowano IS redukcję ryzyka zgonu pacjentów z osteoporozą i złamaniami kręgow, stosujących denosumab, zarówno w populacji ogólnej, jak i populacji z wykluczeniem pacjentów, u których zgon nastąpił w ciągu 2 lat po złamaniu, względem populacji chorych stosujących doustne bisfosfoniany.

Natomiast w badaniu Behanova 2019 nie wykazano IS różnic dla porównania DEN vs ALN i/lub RIS w zakresie ryzyka zgonu oraz wystąpienia kolejnych złamań biodra, zarówno w populacji ogólnej, jak i analizowanych osobno populacjach kobiet i mężczyzn.

#### *Wytyczne kliniczne*

Wytyczne polskie Głuszko 2022, Czerwiński 2022 pozycjonują denosumab zarówno jako lek I, jak i II linii leczenia, przy czym w publikacji Głuszko 2022 dodatkowo wskazano, że denosumab może być podawany zwłaszcza w przypadku braku tolerancji leków doustnych. Natomiast wytyczne amerykańskie ACP 2023 i 2024 oraz wytyczne europejskie dla mężczyzn ESCEO 2024 wskazują, że w grupie wysokiego ryzyka złamań, denosumab powinien stanowić II linię leczenia. Wytyczne SEIOMM 2022, ESCEO 2019 (dla kobiet po menopauzie) podkreślają podobnie, iż denosumab stanowi alternatywę dla doustnych bisfosfonianów w przypadku ich nietolerancji przez pacjentów. Z kolei najnowsze międzynarodowe wytyczne dla kobiet IMS 2025 nie różnicują kolejności terapii bisfosfonianami i denosumabem w grupie pacjentek z wysokim ryzykiem złamań. Dodatkowo większość analizowanych wytycznych, podkreśla zagrożenia płynące z opóźniania przyjęcia denosumabu lub niekontrolowanego przerwania leczenia tą substancją czynną oraz konieczności ponownego wdrożenia leczenia antyresorpcyjnego, 6 miesięcy po zakończeniu terapii denosumabem. Ze względu na trudności związane z zakończeniem leczenia denosumabem, brytyjskie wytyczne NOGG 2024 zalecają szczególnie starannie



rozważenie decyzji o inicjacji leczenia tą substancją czynną u młodszych kobiet po menopauzie oraz u młodszych mężczyzn.

### Problem ekonomiczny

Analizę ekonomiczną przeprowadzono w formie analizy kosztów-użyteczności (ang. cost-utility analysis, CUA).

W populacji kobiet oszacowany ICUR wyniósł dla porównania DEN vs ALN: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i 40 131 zł/QALY w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i 63 934 zł/QALY w wariancie bez RSS. Dla porównania DEN vs RIS oszacowany ICUR wyniósł: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i 14 999 zł/QALY w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i 33 340 zł/QALY w wariancie bez RSS. W populacji mężczyzn oszacowany ICUR wyniósł dla porównania DEN vs ALN: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i 54 945 zł/QALY w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i 80 388 zł/QALY w wariancie bez RSS. Dla porównania DEN vs RIS oszacowany ICUR wyniósł: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i 27 012 zł/QALY w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i 44 321 zł/QALY w wariancie bez RSS. Przy wartości ICUR oszacowanej w analizie podstawowej oszacowana przez wnioskodawcę wartość maksymalna ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości proggu (244 821 zł/QALY) wynosi w populacji kobiet dla porównania DEN vs ALN: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS. W populacji kobiet dla porównania DEN vs RIS oszacowane wartości progowe wynoszą: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS.

W populacji mężczyzn dla porównania DEN vs ALN oszacowane wartości progowe wynoszą: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [ ] w wariancie z RSS i [ ] w wariancie bez RSS. Dla porównania DEN vs RIS oszacowane wartości progowe wynoszą: z perspektywy NFZ [ ] w wariancie

z RSS i [REDAKTOWANE] w wariacie bez RSS, a z perspektywy wspólnej [REDAKTOWANE] w wariacie z RSS i [REDAKTOWANE] w wariacie bez RSS.

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjent) dla 2-letniego horyzontu czasowego. Oszacowania wnioskodawcy w wariacie z uwzględnieniem RSS wskazują, iż finansowanie ze środków publicznych leku Izamby we wnioskowanym wskazaniu będzie wiązało się ze wzrostem wydatków: z perspektywy NFZ o [REDAKTOWANE] odpowiednio w I i II roku, a z perspektywy wspólnej o [REDAKTOWANE]

#### *Rekomendacje refundacyjne*

W wyniku wyszukiwania odnaleziono rekomendację francuską (HAS 2020), dwie rekomendacje kanadyjskie (CADTH 2015 i 2016), rekomendację brytyjską (NICE 2010) oraz raport niemieckiej agencji IQWiG (IQWiG 2022) mający na celu porównawczą ocenę korzyści wynikających ze stosowania bisfosfonianów, teriparatydu oraz denosumabu w leczeniu kobiet z osteoporozą pomenopauzalną, z uwzględnieniem punktów końcowych istotnych dla pacjenta. Zarówno rekomendacja HAS 2020, CADTH 2016, jak i NICE 2010 zawierają pozytywne opinie dotyczące refundacji denosumabu w leczeniu osteoporozy pomenopauzalnej u kobiet, niemniej jednak we wszystkich z nich proponuje się dodatkowe kryteria kwalifikacji. Pierwszym z nich jest wystąpienie u pacjentek wysokiego ryzyka złamań. Drugie kryterium odnosi się do umiejscowienia terapii denosumabem w algorytmie postępowania terapeutycznego. Rekomendacja HAS 2020 ogranicza stosowanie denosumabu wyłącznie jako terapii drugiej linii, tj. jako leczenia następczego po bisfosfonianach, a rekomendacja CADTH 2016 do przypadków pacjentek mających przeciwwskazania do stosowania doustnych bisfosfonianów. W rekomendacji NICE 2010 uwzględniono natomiast szerzej, zarówno pacjentów, którzy nie są w stanie przestrzegać szczególnych zaleceń dotyczących przyjmowania alendronianu oraz risedronianu lub etidronianu, jak i tych wykazujących nietolerancję lub mających przeciwwskazania do stosowania terapii tymi lekami.

Rekomendacja CADTH 2015 dotycząca refundacji denosumabu w populacji mężczyzn z osteoporozą, jest zgodna, co do wyznaczonych kryteriów, z rekomendacją wydaną dla populacji kobiet (CADTH 2016).

Izamby (denosumab) jest finansowany w 10 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych) – stan na dzień 09.03.2026 r.

### Główne argumenty decyzji

- *Przewaga skuteczności nad komparatorami w badaniu randomizowanym i badaniach rzeczywistej praktyki klinicznej;*
- *Rekomendacje i wytyczne towarzystw naukowych;*
- *Rozszerzenie opcji terapeutycznych leczenia osteoporozy w populacji pacjentów nie objętej aktualnie refundacją;*
- *Akceptowalny wpływ rozszerzenia populacji objętej refundacją na budżet płatnika publicznego.*

### **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 2026 r. poz. 253), 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.4130.1.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Iزامby (denosumab) we wskazaniu: Leczenie osteoporozy u kobiet po menopauzie oraz u mężczyzn, u których występuje zwiększone ryzyko złamań (definiowane jako T-score mniejsze lub równe -2,5 lub wystąpienie złamania osteoporotycznego), data ukończenia: 18 czerwca 2026 roku.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

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

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (EGIS Polska Sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022r., poz. 902 ) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** EGIS Polska Sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości  
nr 94/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku  
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym  
B.44 „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w programie lekowym B.44 „Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82).*

**Uzasadnienie**

*W ramach programu lekowego B.44 dostępne są następujące leki biologiczne: omalizumab (przeciwciało anty-IgE), mepolizumab (przeciwciało anty-IL-5), benralizumab (przeciwciało anty-IL-5Rα), dupilumab (przeciwciało anty-IL-4Rα) oraz tezepelumab (przeciwciało anty-TSLP). Proponowane zmiany w programie lekowym B.44 obejmują:*

- *Dla wszystkich leków biologicznych dostępnych w ramach programu lekowego (omalizumab, mepolizumab, benralizumab, dupilumab, tezepelumab) wprowadzenie możliwości zmiany leczenia biologicznego w ramach programu (przejścia na inny lek biologiczny dostępny w programie – tzw. switching terapii) bez okresu obowiązkowej 2-miesięcznej przerwy oraz konieczności ponownej pełnej kwalifikacji. Powyższą zmianę zaproponowano dla pacjentów, u których wystąpiła nietolerancja / nadwrażliwość na substancję czynną lub pomocniczą dotychczas stosowanego leku, pojawiły się działania niepożądane uniemożliwiające kontynuację leczenia, stwierdzono niewystarczającą skuteczność terapii lub przesłanki kliniczne wskazujące na większe prawdopodobieństwo skuteczności alternatywnego leku biologicznego.*
- *Dla leków mepolizumab, benralizumab i dupilumab wprowadzenie zmiany w kryteriach włączenia do programu w następującej postaci:*
  - *mepolizumab, benralizumab: rozszerzenie populacji o pacjentów pediatrycznych dopuszczające stosowanie mepolizumabu od 6. r.ż., zmiana wymagań w zakresie liczby eozynofili – obniżenie progu liczby eozynofili*

w okresie 12 miesięcy poprzedzających kwalifikację z  $\geq 350$  komórek/ $\mu$ l do  $\geq 300$  komórek/ $\mu$ l oraz wprowadzenie możliwości kwalifikacji pacjentów już przy stężeniu  $\geq 150$  komórek/ $\mu$ l na wizycie kwalifikacyjnej, usunięcie wymogu osiągnięcia skumulowanej rocznej dawki doustnych glikokortykosteroidów (GKS), pozostawiając jedynie warunek ich stosowania przez co najmniej 6 miesięcy w dawce  $\geq 5$  mg/dobę;

- dupilimab: uwspólnienie listy kryteriów dla osób powyżej 18 r.ż. z kryteriami dla pacjentów powyżej 12 r.ż., jednocześnie obniżając wiek kwalifikujący do leczenia z 12 do 6 lat.

- Dla wszystkich leków dodanie zapisu, zgodnie z którym ciąża i karmienia piersią nie stanowią bezwzględnego kryterium wyłączenia z programu. Jednocześnie, w części dot. czasu leczenia w programie, zmiana zapisu odnoszącego się do konieczności zawieszenia leczenia w przypadku zajścia w ciążę.
- Uwspólnianie zakresu badań diagnostycznych dla wszystkich leków w programie. Wprowadzone zmiany ujednolicają zakres badań, wprowadzając dodatkowe badania, które dotychczas dotyczyły jedynie części leków. Jednocześnie wprowadza się dodatkowe badania, które dotychczas nie były uwzględnione w ramach PL. Ponadto zrezygnowano z niektórych badań, które wcześniej były obligatoryjne.
- W części opisu programu lekowego dotyczącej schematu dawkowania leków w programie wprowadzenie zmian redakcyjnych i wydzielenie osobnej części, zawierającej zapis precyzujący warunki konieczne do spełnienia w celu wydawania leku na okres do 4 miesięcy.

Zmiana w kryteriach włączenia dotycząca możliwości zamiany leczenia biologicznego w ramach programu (przejścia na inny lek biologiczny dostępny w programie) bez konieczności ponownej pełnej kwalifikacji w uzasadnionych przypadkach, jest zgodna z wytycznymi GINA 2026, gdzie wskazano, że w przypadku braku dobrej odpowiedzi na leczenie biologiczne u dorosłych i młodzieży z ciężką astmą zaleca się rozważanie zmiany terapii na inny lek celowany stosowany w leczeniu astmy typu 2. Ponadto, wyniki przeglądu systematycznego Zheng 2026 wskazują, że zmiana terapii biologicznej u pacjentów z ciężką astmą, u których nie uzyskano odpowiedzi na leczenie początkowe, może zostać uznana za potencjalnie skuteczną strategię postępowania.

Proponowane zmiany w zakresie kryteriów włączenia do leczenia ciężkiej astmy eozynofilowej mepolizumabem lub benralizumabem, obejmujące rozszerzenie populacji o pacjentów pediatrycznych (od 6 r.ż.) oraz obniżenie progu w zakresie liczby eozynofili, jest zgodne z wytycznymi klinicznymi, wskazaniem rejestracyjnymi leków, a także znajdują swoje uzasadnienie w wynikach badań rejestracyjnych. Zmiana dotycząca usunięcie wymogu osiągnięcia skumulowanej

rocznej dawki doustnych GKS została uznana przez Ekspertów za zasadną oraz upraszczającą kwalifikację do programu. W opinii Ekspertów kryterium stosowania doustnych GKS przez co najmniej 6 miesięcy w dawce  $\geq 5$  mg/dobę wydaje się wystarczające do identyfikacji pacjentów z ciężkim przebiegiem choroby wymagających leczenia biologicznego.

Zmiany dotyczące kryteriów kwalifikacji do leczenia ciężkiej astmy z zapaleniem typu 2 dupilumabem, obejmujące rozszerzenie populacji o pacjentów pediatrycznych (od 6 r.ż.), obniżenie progu w zakresie liczby eozynofilii, jak również dodanie kryterium związanego ze stężeniem wydychanego tlenu azotu (FeNO), są zgodne z wytycznymi klinicznymi, zapisami ChPL, a ponadto znajdują swoje uzasadnienie w wynikach badań rejestracyjnych oraz w samym mechanizmie działania leku. Zmiana dotycząca usunięcia wymogu osiągnięcia skumulowanej rocznej dawki doustnych glikokortykosteroidów została uznana przez Ekspertów za zasadną oraz upraszczającą. Pozostałe zmiany dotyczące zróżnicowania (w zależności od wieku): progów dawkowania dla wziewnych GKS (niższy próg dla dzieci w wieku 6-11 lat) oraz sterydoterapii stosowanej przy wystąpieniu epizodów zaostrzeń (wziewne glikokortykosteroidy dla dzieci w wieku 6-11 lat), Eksperti uznali za zasadne, porządkujące oraz uszpólniające podejście do kwalifikacji pacjentów z tych samych grup wiekowych do leczenia różnymi lekami (tj. dupilumabem i omalizumabem).

Proponowane dla wszystkich leków zmiany w zapisach kryteriów wykluczenia oraz czasu leczenia, polegające na odstąpieniu od traktowania ciąży lub karmienia piersią jako bezwzględного kryterium wyłączenia z programu oraz na zastąpieniu obligatoryjnego zawieszenia leczenia możliwością jego zawieszenia, są spójne z zapisami wytycznych GINA 2026 oraz ChPL.

Zmiany w zakresie schematu dawkowania leków w programie, dotyczące możliwości kontynuacji leczenia w warunkach domowych poprzez maksymalne wydawanie leku na okres do 4 miesięcy po spełnieniu określonych warunków, uznano przez Ekspertów za zasadne i potrzebne. Mają one na celu ujednolicenie organizacji leczenia biologicznego w programie lekowym, ograniczenie nadmiernego obciążenia pacjentów i ośrodków koniecznością częstych wizyt administracyjnych przy zachowaniu pełnego bezpieczeństwa terapii.

Proponowane zmiany w zakresie badań diagnostycznych i monitorowania leczenia, obejmujące ich ujednolicenie, doprecyzowanie zasad wykonywania oraz rozszerzenie o wybrane elementy są zgodne z wytycznymi GINA 2026, które podkreślają rolę biomarkerów zapalenia typu 2 (w tym eozynofili, IgE i FeNO) oraz konieczność systematycznej oceny odpowiedzi na leczenie biologiczne. Należy jednak wskazać, że wytyczne nie odnoszą się szczegółowo do wszystkich proponowanych elementów zakresu badań, a część z nich (np. oznaczenia IgE całkowitego czy testy alergologiczne) wskazywana jest przede wszystkim w kontekście kwalifikacji do terapii omalizumabem. Tym samym część

*proponowanych zmian wykracza poza bezpośrednie zalecenia wytycznych i ma charakter ujednolicający oraz organizacyjny, sprzyjający spójności programu i praktyki klinicznej.*

*Biorąc pod uwagę szeroki zakres proponowanych zmian, w tym zmiany potencjalnie wpływające na wzrost kosztów, jak i na zmniejszenie kosztów ponoszonych na realizację programu, ostateczny wpływ na wydatki płatnika publicznego jest trudny do oszacowania, jednakże prawdopodobnie ogólny wpływ na koszty ponoszone na realizację programu lekowego B.44 nie będzie znaczący w kontekście całkowitych wydatków ponoszonych obecnie na realizację programu.*

**Główne argumenty decyzji:**

- Proponowane zmiany są zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi, przeglądami systematycznymi, charakterystykami produktów leczniczych i opiniami ekspertów;*
- Proponowane zmiany porządkują zapisy i usprawniają podejście do kwalifikacji pacjentów.*

**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: DRTM.4121.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.44 »Leczenie chorych z ciężką postacią astmy (ICD-10: J45, J82)«”, data ukończenia: 25 czerwca 2026 r.





Opinia Rady Przejrzystości  
nr 95/2026 z dnia 29 czerwca 2026 roku  
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie  
rehabilitacji mieszkańców Świnoujścia w wieku od 70 roku życia  
na lata 2026-2028”

*Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji mieszkańców Świnoujścia w wieku od 70 roku życia na lata 2026-2028”.*

**Uzasadnienie**

*PPZ dotyczy rehabilitacji mieszkańców Świnoujścia w wieku od 70 roku życia na lata 2026-2028.*

*Celem głównym Programu jest zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30 uczestników programu, dotkniętych problemem urazów chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu (ok. 390 osób w czasie 3-letniego trwania programu, ok. 92,9 % populacji docelowej).*

*Interwencja obejmuje:*

- wizytę terapeutyczną;
- indywidualny plan rehabilitacyjny;
- działania edukacyjne.

*Cel główny wydaje się możliwy do realizacji poprzez wdrożenie działań rehabilitacyjnych zaplanowanych w projekcie.*

*Przyjęta wartość docelowa 30% to próg świadczący o skuteczności interwencji.*

*Cel szczegółowy – utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy, min. 80 % poprawnych odpowiedzi lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy z zakresu profilaktyki wtórnej jest możliwy do realizacji.*

*W projekcie przedstawiono 2 mierniki efektywności, tj. odsetek osób, u których doszło do poprawy zdrowia oraz odsetek osób, u których wzrósł poziom wiedzy.*

*Mierniki efektywności zaplanowano prawidłowo. Wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizjoterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.*

*Umowę z zakresu rehabilitacji leczniczej na terenie Świnoujścia ma tylko jeden świadczeniodawca. Projekt programu zakłada monitorowanie i ewaluację zgodnie z zaplanowanymi miernikami efektywności.*

*Budżet PPZ.*

*Koszt całkowity – 512 949 zł ze środków Gminy Miasto Świnoujście.*

*2026 – 167 000 zł*

*2027 – 171 008 zł*

*2028 – 174 941 zł*

*Całkowity koszt programu będzie mógł być modyfikowany w zależności od możliwości Gminy Miasto Świnoujście oraz od ceny zaproponowanej przez wykonawców wyłonionych w drodze konkursu.*

*W ocenianym wskazaniu i we wskazanej populacji rekomendacje są pozytywne, jeśli chodzi o rehabilitację i działania edukacyjne.*

*Ekspertci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania PPZ z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością oraz podejmowanie działań edukacyjnych.*

#### **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.451.30.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji mieszkańców Świnoujścia w wieku od 70 roku życia na lata 2026-2028” realizowany przez: Miasto Świnoujście, Warszawa, czerwiec 2026 oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.