



DOR.001.26.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 27/2026
w dniu 6 lipca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Małgorzata Bała
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Paweł Grzesiewski
5. Roman Junik
6. Maciej Karaszewski
7. Elżbieta Lanc
8. Marcin Lipowski
9. Tomasz Pasierski
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 stanowiska w sprawie oceny leku Rinvoq (upadacitinibum) w ramach programu lekowego B.75. „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Miofree (atropini sulfas) we wskazaniu: zahamowanie krótkowzroczności u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 18 lat.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Iwifin (eflornithine) we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie.

5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności umieszczenia na liście, o której mowa w art. 30a ustawy o refundacji, produktów z wykazu dotyczącego leków z zakresu gastroenterologii, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których nie złożono wniosku o objęcie refundacją i upłynęła wyłączność rynkowa.
6. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej gemcitabinum we wskazaniu pozarejestacyjnym: załącznik C.28.
 - C66 nowotwór złośliwy moczowodu
 - C68 nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych narządów moczowych.
7. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska zadeklarowali konflikt interesów odnoszący się do leku Miofree, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu ich z głosowania w ramach pkt. 3 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 10 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

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

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Anna Czerniecka-Kubicka i Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji przedstawił kluczowe informacje o leku Miofree.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Sznitowska, Andrzej Dąbrowski i Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Roman Junik i Elżbieta Lanc, a przedstawił Roman Junik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Maciej Karaszewski, Roman Junik i Małgorzata Sznitowska.

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

Ad 4. Analitik Agencji podsumował dane z raportu dotyczącego leku Iwifin.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przygotował i przedstawił Marcin Lipowski.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Małgorzata Bała.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje dot. produktów znajdujących się na wykazie leków z zakresu gastroenterologii.

Głos zabrali Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Małgorzata Sznitowska.

Posiedzenie opuściła Anna Czerniecka-Kubicka.

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

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Małgorzata Sznitowska.

Treść uchwały doprecyzowali: Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski

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

Ad 6. Paweł Grzesiewski przygotował i przedstawił projekt opinii Rady dot. substancji czynnej gemcitabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 11:58.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 84/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku

w sprawie oceny leku Rinvoq (upadacytinib) w ramach programu lekowego B.75. „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Rinvoq (upadacitinibum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 15 mg, 28 szt., GTIN: 08054083020334, w ramach programu lekowego B.75. „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)” - w ramach części II programu lekowego „Leczenie pacjentów z olbrzymiokomórkowym zapaleniem tętnic (GCA) (ICD-10: M31.5, M31.6)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem, że całkowity koszt leczenia w ocenianym wskazaniu nie będzie wyższy niż koszt terapii tocilizumabem oraz RSS będzie spójny ze stosowanym RSS w innych wskazaniach.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Olbrzymiokomórkowe zapalenie tętnic (ang. giant cell arteritis, GCA) to martwicze zapalenie dużych i średnich naczyń prowadzące do ich odcinkowych zwężeń i okluzji, a w konsekwencji do zaburzeń ukrwienia narządów. Najczęstszą postacią olbrzymiokomórkowego zapalenia naczyń, występującą u ok. 75% chorych, jest zapalenie tętnicy skroniowej. GCA jest najpowszechniejszą formą zapalenia naczyń, która może powodować krytyczne niedokrwienie i dlatego uważa się je za stan nagły wymagający pilnej interwencji. W przebiegu choroby nawet u 1/5 pacjentów dochodzi do utraty wzroku, czemu może zapobiec wczesne rozpoznanie i podjęcie leczenia.

Zapadalność na GCA w Polsce wyniosła 3/100 tys. osób powyżej 50 lat (wynik ekstrapolowany na podstawie danych dla województwa zachodniopomorskiego w 2016 roku). Choroba dwukrotnie częściej dotyczy kobiet.

Aktualnie, w programie lekowym B.75., w leczeniu pacjentów z olbrzymiokomórkowym zapaleniem tętnic, w ramach terapii biologicznej

finansowany jest tocilizumab. Wskazanie refundacyjne obejmuje pacjentów z rozpoznaniem GCA, u których nie uzyskano remisji lub doszło do jej utraty pomimo zastosowania standardowej terapii (w tym glikokortykosteroidów), a także pacjentów, u których istnieją przeciwwskazania do jej stosowania lub wystąpiły istotne działania niepożądane, przy utrzymującej się aktywności choroby.

Według NFZ, w programie lekowym B.75. w 2025 roku tocilizumabem leczonych było 68 pacjentów.

W projekcie nowego programu lekowego B.75., obok tocilizumabu pojawia się alternatywna opcja zastosowania upadacytynibu.

Upadacytynib jest selektywnym i odwracalnym inhibitorem kinaz janusowych (JAK). JAK są wewnątrzkomórkowymi enzymami, które przekazują sygnały dla cytokin i czynników wzrostu, biorących udział w szerokim spektrum procesów komórkowych, w tym odpowiedziach zapalnych, hematopoizie i nadzorze immunologicznym.

Dowody naukowe

Wnioskodawca przedstawił porównanie bezpośrednie upadacytynibu (UPA) z placebo (badanie SELECT-GCA). W badaniu wykazano, że stosowanie UPA wiązało się z lepszymi wynikami niż placebo we wszystkich analizowanych punktach końcowych. Utrzymującą się remisję do 12. miesiąca osiągnęło około 46% pacjentów leczonych UPA w porównaniu z 29% w grupie placebo [różnica pomiędzy grupami wyniosła 17,1% (95% CI: 6,3; 27,8; $p=0,002$)].

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań bezpośrednio porównujących upadacytynib z komparatorem aktualnie refundowanym w ramach programu lekowego B.75. tj. tocilizumabem.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne kliniczne nie uwzględniają upadacytynibu w zaleceniach dotyczących leczenia GCA. Należy zauważyć, że dokumenty te zostały opublikowane przed datą rejestracji wnioskowanego wskazania – rejestracje EMA oraz FDA dla stosowania upadacytynibu w leczeniu GCA nastąpiły w kwietniu 2025 r.

W opracowaniu „UpToDate 2025”, zalecane metody leczenia GCA obejmują przede wszystkim wysokie dawki glikokortykosteroidów ogólnoustrojowych, a następnie stopniową redukcję dawki. Wskazano, że w celu ograniczenia ekspozycji na GKS stosuje się leki oszczędzające GKS, przede wszystkim tocilizumab, a w wybranych przypadkach także upadacytynib lub metotreksat. Upadacytynib wskazano jako opcję oszczędzającą GKS u pacjentów z nowym lub nawrotowym GCA, zwłaszcza gdy istnieją przeciwwskazania do tocilizumabu, wystąpiły działania niepożądane po tocilizumacie, doszło do nawrotu mimo tocilizumabu bądź pacjent preferuje lek doustny. W leczeniu nawrotu GCA wskazano, że upadacytynib stanowi opcję alternatywną u pacjentów

bez istotnych czynników ryzyka sercowo-naczyniowego, gdy tocilizumab jest niewskazany lub nieskuteczny.

Problem ekonomiczny

Według oszacowań wnioskodawcy, w przypadku wprowadzenia finansowania leku Rinvoq, we wnioskowanym wskazaniu w wariantcie z RSS, [redacted] odpowiednio w 1. i 2. roku.

Według oszacowań własnych Agencji z wykorzystaniem modelu wnioskodawcy, w [redacted]

Rekomendacje refundacyjne

Kanadyjska agencja CDA-AMC rekomenduje finansowanie upadacytynibu pod warunkiem, że całkowity koszt leczenia w ocenianym wskazaniu nie będzie wyższy niż koszt terapii tocilizumabem.

Francuska agencja HAS uznała zasadność finansowania leku Rinvoq wyłącznie w sytuacji braku możliwości zastosowania tocilizumabu.

W niemieckich dokumentach G-BA oraz IQWiG wskazano, że upadacytynib wykazuje niewielką dodatkową korzyść kliniczną jedynie w porównaniu z monoterapią opartą na systemowych glikokortykosteroidach. Jednocześnie podkreślono, że w odniesieniu do terapii skojarzonej z użyciem glikokortykosteroidów i tocilizumabu nie wykazano dodatkowej korzyści klinicznej upadacytynibu.

Brak informacji na temat refundacji Rinvoq w GCA.

Główne argumenty decyzji

- *Nowa, doustna opcja terapeutyczna w leczeniu GCA.*
- *Koszty terapii muszą być obniżone, gdyż nie ma dowodów na przewagę kliniczną upadacytynibu nad tocilizumabem.*
- *Udowodniona przewaga nad placebo.*

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.4131.8.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Rinvoq (upadacytynib) w ramach programu lekowego B.75. »Leczenie

pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)« - w ramach części II programu lekowego »Leczenie pacjentów z olbrzymiokomórkowym zapaleniem tętnic (GCA) (ICD-10: M31.5, M31.6)«; data ukończenia: 25 czerwca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AbbVie 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 AbbVie Sp. z o.o.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnice przedsiębiorców (Roche Polska Sp. z o.o., Fresenius Kabi Polska sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Roche Polska Sp. z o.o., Fresenius Kabi Polska sp. z o.o.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b 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)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025r., poz. 907)²⁾.

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Polska Sp. z o.o., Fresenius Kabi Polska sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 85/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Miofree (atropini sulfas) we wskazaniu:
zahamowanie rozwoju krótkowzroczności u dzieci i młodzieży
w wieku od 6 do 18 lat

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Miofree (atropini sulfas), krople do oczu, roztwór, 100 mcg/ml, 1 butelka, GTIN: 05903060631496, we wskazaniu: zahamowanie rozwoju krótkowzroczności u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 18 lat, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Miofree (atropini sulfas) we wskazaniu: zahamowanie rozwoju krótkowzroczności u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 18 lat. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Miofree jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Brak zaproponowanego mechanizmu dzielenia ryzyka.

Krótkowzroczność (miopia, z gr. myopia) jest jednym z najczęściej występujących schorzeń okulistycznych, które upośledza ostrość widzenia. Krótkowzroczność jest wadą refrakcji, która rozwija się, gdy długość osiowa gałki ocznej (AL) jest nadmierna lub gdy krzywizna rogówki jest zbyt stroma (wypukła).

Rozwój i progresja miopii są najczęściej obserwowane w wieku szkolnym i okresie dojrzewania. Nawet niski do umiarkowanego stopień miopii znacząco zwiększa ryzyko powikłań ocznych w ciągu całego życia. Każda dodatkowa dioptria zwiększa ryzyko rozwoju makulopatii krótkowzrocznej, odwarstwienia siatkówki, zaćmy i jaskry.

Krople do oczu z atropiną silnie rozszerzają źrenicę (mydriaza) i trwale porażają akomodację. Efekty te wynikają z blokowania receptorów muskarynowych w oku, co uniemożliwia oku dostosowanie ostrości widzenia. W niskich stężeniach (np. 0,01%) krople są wykorzystywane u dzieci w celu spowolnienia postępu krótkowzroczności.

Ze względu na możliwość wystąpienia tzw. efektu z odbicia, czyli przyspieszonej progresji krótkowzroczności po przedwczesnym zaprzestaniu leczenia, wskazane jest, aby trwało ono nieprzerwanie min. 2 lata.

Komparatorami są standardowe okulary/soczewki kontaktowe oraz roztwór atropiny przygotowywany w aptekach.

EMA zarejestrowała lek w kwietniu 2025 r. jako pierwszy i dotąd jedyny. Nie był on dotąd oceniany przez AOTMiT.

Dowody naukowe

Do analizy włączono 16 badań RCT. Dla części z nich przeprowadzono metaanalizę wyników dla 12 i 24 miesiąca leczenia populacji zachodniej, obejmującej pacjentów z Australii, Europy i Ameryki Północnej.

Oceniano progresję miopii – wyniki zmiany SER (ekwiwalent sferyczny refrakcji, mierzony w dioptriach, D) względem baseline. Po 12 miesiącach obserwacji łączny efekt leczenia, oceniany w modelu efektów losowych, wyniósł: WMD (ważona różnica średnich) = 0,1114 D (95% CI: 0,0225-0,2002; $p = 0,0141$), co wskazuje na istotnie statystycznie mniejszą progresję krótkowzroczności w grupie leczonej atropiną w porównaniu z placebo.

Po 24 miesiącach leczenia łączny efekt w modelu efektów losowych wyniósł $WMD = 0,1289$ D (95% CI: 0,0053-0,2526; $p = 0,0410$), potwierdzając utrzymujący się, choć umiarkowany, istotny statystycznie efekt ograniczenia progresji krótkowzroczności w ramieniu atropiny.

Ocena progresji miopii – wyniki zmiany AL (długość osiowa gałki ocznej) względem baseline: po 12 miesiącach łączny efekt leczenia wyniósł $WMD = -0,0604$ mm (95% CI: -0,0989 do -0,0219; $p = 0,0021$), co wskazuje na istotne statystycznie zmniejszenie przyrostu AL w grupie atropiny. Po 24 miesiącach łączny efekt leczenia wyniósł $WMD = -0,0506$ mm (95% CI: -0,0971 do -0,0042; $p = 0,0326$), również potwierdzając istotne statystycznie ograniczenie progresji AL w grupie atropiny.

Badanie ATOM2: na podstawie osiągniętych wyników należy uznać, że atropina w stężeniu 0,01% wykazała skuteczność w spowalnianiu progresji miopii u dzieci, ale jej efekt był mniejszy w porównaniu do wyższych dawek. Po zaprzestaniu leczenia atropiną wystąpiła krótkowzroczności z odbicia we wszystkich grupach, jednak efekt z odbicia był największy w grupie otrzymującej dawkę 0,5% i najmniejszy w grupie otrzymującej dawkę 0,01%.

Badanie ATLAS: uzyskane wyniki wskazują na brak istotnej różnicy w końcowej krótkowzroczności po 10 latach obserwacji w porównaniu z placebo oraz innymi stężeniami atropiny oraz nie zaobserwowano zwiększonego ryzyka powikłań okulistycznych związanych z wcześniejszym stosowaniem atropiny 0,01%.

Efekt odbicia (rebound) po zakończeniu leczenia atropiną: w 6 badaniach RCT oceniano także zjawisko odbicia (ang. rebound). Po zakończeniu leczenia atropiną 0,01% odnotowuje się niewielki wpływ na progresję krótkowzroczności,

bez istotnych różnic w porównaniu do grupy placebo. Stosowanie atropiny 0,01% nie wpływa znacząco na zmiany długości osiowej oka ani na postęp miopii po zaprzestaniu leczenia.

Wszystkie badania oceniające bezpieczeństwo stosowania atropiny 0,01% w leczeniu krótkowzroczności wykazują, że większość pacjentów nie doświadczała istotnych działań niepożądanych, a efekty uboczne, takie jak fotofobia, podrażnienie oczu, czy zmniejszone widzenie do blizy, były rzadkie i miały łagodne nasilenie. W większości badań, tylko niewielki odsetek dzieci musiał przerwać terapię z powodu objawów ubocznych.

Nie stwierdzono różnic w jakości życia między uczestnikami otrzymującymi atropinę 0,01% oraz placebo.

Badania RWD: odnaleziono 8 badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo atropiny w zahamowaniu krótkowzroczności w populacji pediatrycznej w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej. Niezależnie od czasu obserwacji, pacjenci otrzymujący atropinę 0,01% doświadczali mniejszej progresji miopii niż pacjenci w grupach kontrolnych.

Wytyczne kliniczne

Istnieje 5 wytycznych klinicznych, w tym polskie PTO z 2024 roku, międzynarodowe WSPOS i IMI z 2025 roku, europejskie ESO/IMI z 2024 roku i amerykańskie AOA z 2021 roku. Atropina w niskim stężeniu (0,01%) jest skuteczną terapią w hamowaniu progresji krótkowzroczności u dzieci. Jest to jedyne dostępne leczenie farmakologiczne. Wśród innych zaleceń o udowodnionej skuteczności znalazły się metody optyczne, tj. soczewki okularowe typu DIMS. Pozostałe zalecenia obejmują: okulary (jednoogniskowe, dwuogniskowe, progresywne), miękkie i twarde (na noc) soczewki kontaktowe, laserowa korekcja krótkowzroczności i skleroplastyka.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie ocenianej interwencji w miejsce komparatora (atropina recepturowa) jest tańsze zarówno w perspektywie płatnika publicznego jak i perspektywie wspólnej. Dla porównania z atropiną recepturową koszt wnioskowanej interwencji jest tańszy o [] w perspektywie płatnika publicznego oraz [] w perspektywie wspólnej. Warianty przeprowadzonych analiz ekonomicznych z uwzględnieniem dostępności produktu leczniczego Miofree w ramach kategorii D1 (finansowanie w ramach wykazu bezpłatnych leków dla dzieci i młodzieży poniżej 18. roku życia) nie zmieniają wnioskowania z analizy podstawowej.

Przy wartości ICUR wartość progowa ceny zbytu netto leku, przy której 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, wynosi dla soczewek okularowych: [] w perspektywie płatnika publicznego oraz [] w perspektywie wspólnej.

W związku z nieprzedstawieniem badania RCT w którym wykazano wyższość stosowania atropiny gotowej względem atropiny recepturowej zachodzą okoliczności art. 13 ustawy o refundacji.

Wnioskodawca wykonał analizę progową zgodnie z zapisami art. 13 ustawy o refundacji. Wartość urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Miofree, przy której koszt jego stosowania nie jest wyższy od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania wynosi [REDAKTOWANO] w perspektywie płatnika publicznego oraz [REDAKTOWANO] w perspektywie wspólnej.

Przeprowadzono deterministyczną i probabilistyczną analizę wrażliwości. Główne ograniczenia AE dotyczyły braku pełnych danych epidemiologicznych dotyczących wnioskowanej populacji. Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie 5-letnim. Populacja docelowa leczona wnioskowaną technologią wyniesie od [REDAKTOWANO] pacjentów w pierwszym do [REDAKTOWANO] pacjentów w piątym roku refundacji.

Wyniki BIA wnioskodawcy wskazały, że objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej w perspektywie NFZ będzie związane z obniżeniem wydatków płatnika publicznego o 11,4 mln zł, 14,7 mln zł, 11,2 mln zł, 10,0 mln zł oraz 10,8 mln zł w kolejnych 5 latach refundacji, natomiast w perspektywie wspólnej o 12,2 mln zł, 15,0 mln zł, 9,4 mln zł, 7,2 mln zł oraz 7,8 mln zł w kolejnych 5 latach refundacji.

Wyniki dodatkowej analizy wskazują, że przy założeniu, że Miofree będzie finansowany w ramach kategorii D1, w pierwszych trzech latach analizowanego okresu odnotowywano oszczędności dla płatnika publicznego, natomiast w 4. i 5. roku refundacji obserwowano wzrost wydatków kolejno o 78,2 tys. do 84,5 tys. zł.

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono żadnej rekomendacji refundacyjnej dla atropiny w omawianym wskazaniu.

Główne argumenty decyzji:

- Istniejąca potrzeba medyczna,
- Skuteczność lecznicza,
- Wyniki badań naukowych,
- Wytyczne towarzystw naukowych,
- Prawdopodobne oszczędności dla płatnika.

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.4130.2.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Miofree (Atropini sulfas) w kategorii w aptece na receptę, we wskazaniu: zahamowanie rozwoju krótkowzroczności u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 18 lat”; data ukończenia: 23 czerwca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.) 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: Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 86/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu
kolejnego neuroblastoma u pacjenta w remisji

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Iwilfin (eflornithine), tabletki, we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności refundacji, w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Iwilfin we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4. stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie.

Przedmiotowy wniosek stanowi ponowną prośbę o finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego Iwilfin. Poprzedni wniosek, złożony dla tego samego pacjenta, był opiniowany przez Radę Przejrzystości dnia 3 lutego 2026 r. (SRP nr 18/2026). Wówczas Rada przyjęła stanowisko negatywne, którego głównymi argumentami były: brak wysokiej jakości danych naukowych potwierdzających skuteczność terapii, wątpliwy profil bezpieczeństwa oraz bardzo wysoki koszt terapii.

Do aktualnego wniosku załączono dodatkowo dwie opinie ekspertów (tj. Konsultantów, Krajowego i Wojewódzkiego, w dziedzinie Onkologii i Hematologii Dziecięcej), którzy uważają za zasadne zastosowanie produktu Iwilfin u pacjenta wskazanego we wniosku. Ponadto, przedstawiono dwa opisy historii leczenia przedmiotowego pacjenta. Odnosząc się do powyższego należy podkreślić, że decyzje o finansowaniu technologii medycznej w ramach importu docelowego obowiązują przez 3 lata i obejmują wszystkich pacjentów ze wskazaniem zgodnym z wnioskowanym. W opinii ekspertów (raport nr: OTAD.4211.2.025), liczebność populacji docelowej wynosi około 10 pacjentów rocznie.

Neuroblastoma jest złośliwym nowotworem, który objawia się guzem lub masami guzowatymi w obrębie jamy brzusznej, wokół rdzenia kręgowego,

klatki piersiowej, szyi lub miednicy. Jest to jeden z najczęstszych nowotworów u dzieci (stanowi ok. 5-7% wszystkich nowotworów). W Polsce rozpoznaje się rocznie około 60-70 nowych zachorowań.

Ocenianym wskazaniem jest redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie. Jedynym lekiem dla tego wskazania, wymienionym w wytycznych NCCN 2025, jest eflornityna (DFMO). Aktualnie nie są dostępne alternatywne technologie medyczne dla eflornityny w leczeniu podtrzymującym nawrotowego neuroblastoma w remisji.

Produkt leczniczy Iwilfin (eflornithine) nie jest dopuszczony do obrotu w Polsce. Ponadto, lek ten nie został zarejestrowany przez EMA, która uznała, że nie można wykazać jego skuteczności ze względu na ograniczenia badania klinicznego NMTRC003/NCT02395666, niejasności związane z jego przeprowadzeniem i wynikami. EMA miała też wątpliwości co do jakości i wytwarzania leku.

Dowody naukowe

Dane dotyczące stosowania leku Iwilfin opierają się na wynikach jednego badania pierwotnego NMTRC003 (Oesterheld 2023 i Duke 2024), w którym oceniano skuteczności i bezpieczeństwo leczenia DFMO jako terapii podtrzymującej w neuroblastoma wysokiego ryzyka, względem historycznej grupy kontrolnej. Wykazano IS różnice na korzyść DFMO względem braku terapii (historyczna grupa kontrolna) dla EFS i OS. Stosowanie leku Iwilfin (eflornithine) wiąże się z ryzykiem wystąpienia powikłań, takich jak utrata słuchu, zapalenie ucha środkowego, gorączka, zapalenie płuc oraz biegunka.

Nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych względem opinii z lutego br. Jedynie wytyczne NCCN 2025 uwzględniają ocenianą technologię medyczną. Panel NCCN ds. nerwiaka niedojrzałego sugeruje, aby lekarze omawiali z pacjentami i ich rodzinami eflornitynę jako opcję terapii kontynuacyjnej (zalecenie kategorii 2B). Organizacja SIOPEN popiera stosowanie eflornityny zgodnie z rejestracją FDA oraz w ramach programu szybkiego dostępu (EAP) tam, gdzie jest on dostępny, a równocześnie zobowiązuje się do gromadzenia danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa w ramach badania HR-NBL2.

Ankietowani przez Agencję eksperci nie przedstawili jednoznacznego stanowiska na temat stosowania eflornityny. Zwrócili uwagę, że aktualnie nie są dostępne inne leki możliwe do zastosowania w ocenianym wskazaniu. Jednocześnie podkreślili brak wysokiej jakości dowodów potwierdzających skuteczność eflornityny we wnioskowanej populacji pacjentów oraz bardzo wysokie koszty terapii.

Problem ekonomiczny

Oceniany produkt nie był wcześniej sprowadzany do Polski w ramach importu docelowego. Prognozowane wydatki na finansowanie produktu leczniczego

Iwilfin w ramach importu docelowego wynoszą rocznie dla 1 pacjenta od 0,6 mln PLN do 1,2 mln PLN (w zależności od przyjętego dawkowania).

Podsumowując, od wydania poprzedniej opinii Rady Przejrzystości (3 lutego br.) nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania Rady.

Główne argumenty decyzji:

- *Niskiej jakości dane naukowe nt. skuteczności terapii;*
- *Wątpliwy profil bezpieczeństwa;*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.414.3.2026 „Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie”; data ukończenia: 1 lipiec 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 96/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku
w sprawie kwalifikacji technologii lekowych na listę,
o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji,
przygotowywanej przez Ministra Zdrowia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie technologii lekowych z wykazu z dnia 20 maja 2026 r. dotyczącego leków we wskazaniach z zakresu gastroenterologii, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa na listę, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia.

Lp.	Substancja czynna	Postać	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
1	Dexlansoprazole	Kapsułki o zmodyfikowanym uwalnianiu	Leczenie nadżerkowego refluksowego zapalenia przełyku oraz leczenie podtrzymujące nadżerkowego refluksowego zapalenia przełyku i zgagi u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 do 17 lat	W aptece na receptę
2	Itopiride	Tabletki powlekane	Leczenie objawów żołądkowo-jelitowych czynnościowej, niestrawności nie związanej z chorobą wrzodową, takich jak uczucie wzdęcia brzucha, uczucie nadmiernej pełności w żołądku, ból w nadbrzuszu, dyskomfort, brak łaknienia, zgaga, nudności i wymioty	W aptece na receptę
3	Ferri proteinatosuccinas	Roztwór doustny	Leczenie niedoboru żelaza oraz niedokrwistości z niedoboru żelaza: - u dorosłych, - w następstwie przewlekłej utraty krwi, - w ciąży i w okresie karmienia piersią. Produkt leczniczy Feroplex może być również stosowany u dzieci powyżej 1 roku życia	W aptece na receptę
4	Ferrosi sulfas + Acidum folicum	Tabletki o przedłużonym uwalnianiu	Zapobieganie oraz leczenie niedoborów żelaza i kwasu foliowego u kobiet w ciąży	W aptece na receptę
5	Adalimumab	Roztwór do wstrzykiwań	Leczenie młodzieży i dzieci od 6 lat z umiarkowanym do ciężkiego czynnym wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego, którzy nie wykazali wystarczającej odpowiedzi na konwencjonalne leczenie, w tym kortykosteroidy i 6-merkaptopurynę (6-MP) lub azatioprynę (AZA), lub wtedy, gdy nie tolerują takiego leczenia lub jest ono przeciwwskazane ze względów medycznych	W ramach programu lekowego

6	Vedolizumab	Proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji	Leczenie dorosłych pacjentów z umiarkowanym lub ciężkim czynnym przewlekłym zapaleniem błony śluzowej zbiornika jelitowego, u których z powodu wrzodziejącego zapalenia jelita grubego wykonano proktokolektomię z zespoleniem krętniczoodbytowym, a odpowiedź na antybiotykoterapię u tych pacjentów była niewystarczająca lub przestali oni reagować na antybiotykoterapię	W ramach programu lekowego
7	Zinc sulfate	Tabletki powlekane	Choroba Wilsona	W aptece na receptę
8	Zinc acetate	Kapsułka twarda	Choroba Wilsona	W aptece na receptę
9	Sapropterin	Tabletki do sporządzania roztworu doustnego	W leczeniu hiperfenyloalaninemii (ang. HPA) u dorosłych i dzieci w każdym wieku, chorujących na fenylketonurię (ang. PKU), u których stwierdzono reakcję na ten rodzaj leczenia. Również wskazany w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci w każdym wieku z niedoborem tetrahydrobiopteryny (ang. BH4), u których stwierdzono reakcję na ten rodzaj leczenia	W ramach programu lekowego
10	Miglustat	Kapsułka twarda	Wskazany do stosowania doustnego w leczeniu łagodnej i umiarkowanej choroby Gauchera typu I u pacjentów dorosłych. Może być stosowany wyłącznie w leczeniu pacjentów, u których nie może być prowadzona enzymatyczna terapia zastępcza oraz terapia eliglustatem	W ramach programu lekowego
11	Lenwatynib	Kapsułka twarda	Leczenie dorosłych pacjentów z zaawansowanym lub nieoperacyjnym rakiem wątrobowokomórkowym, którzy nie byli poddani wcześniej leczeniu ogólnemu, z przeciwwskazaniami do immunoterapii	W katalogu chemioterapii

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie technologii lekowych z wykazu z dnia 20 maja 2026 r. dotyczącego leków we wskazaniach z zakresu gastroenterologii, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa na listę, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia.

Lp.	Substancja czynna	Postać	Wskazanie	Proponowana kategoria refundacji
1	Itopiride	Tabletki powlekane	Leczenie objawowe choroby refluksowej przełyku w monoterapii lub jako terapia dodana u pacjentów leczonych inhibitorami pompy protonowej	W aptece na receptę
2	Timonacicum	Tabletki	Pomocniczo w ostrych i przewlekłych schorzeniach wątroby o różnej etiologii oraz w toksycznym uszkodzeniu wątroby spowodowanym alkoholem, lekami lub substancjami chemicznymi	W aptece na receptę

Uzasadnienie

Produkty lecznicze w danej postaci leku, wskazane przez Radę, są stosowane dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i są rekomendowane w wytycznych postępowania klinicznego. Wskazania kliniczne są zawarte w ChPL. Podmioty odpowiedzialne nie złożyły dotychczas wniosku o objęcie

wymienionych produktów leczniczych refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła dla tych leków wyłączność rynkowa. Rada Przejrzystości uwzględniła potrzebę zdrowotną stosowania wymienionych produktów leczniczych kierując się danymi dotyczącymi dostępności innych substancji czynnych refundowanych w danym wskazaniu o tożsamym celu terapeutycznym i/lub na podstawie wskazania przez eksperta klinicznego. Rada wzięta pod uwagę, że przy kwalifikacji technologii do ww. wykazu kierowano się oceną oczekiwanych efektów zdrowotnych, m.in.:

- priorytetami zdrowotnymi,
- niezaspokojoną potrzebą zdrowotną,
- siłą interwencji,
- jakością danych naukowych,
- wielkością populacji docelowej,
- wpływem na budżet płatnika.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 30a ust. 5 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w związku z art. 31n pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w związku ze zleceniem przygotowania opinii w zakresie zasadności umieszczenia poszczególnych produktów z wykazu z dnia 20 maja 2026 r. dotyczącego leków we wskazaniach z zakresu gastroenterologii, wymagających stosowania dłużej niż 30 dni w określonym stanie klinicznym i rekomendowanych w wytycznych postępowania klinicznego, w stosunku do których wnioskodawca nie złożył dotychczas wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu w danych wskazaniach oraz upłynęła wyłączność rynkowa, na liście leków, o której mowa w art. 30a ust. 1 ustawy o refundacji przygotowywanej przez Ministra Zdrowia, z uwzględnieniem opracowania nr: DRTM.417.1.2026 „Wykaz leków z zakresu gastroenterologii na podstawie art. 30a ustawy o refundacji Materiały analityczne”; data ukończenia: 20 maja 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wyżej wskazanych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 97/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
gemcitabinum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną gemcitabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.28

- C66 nowotwór złośliwy moczowodu,
- C68 nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych narządów moczowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W opinii z dnia 14 sierpnia 2023 r. (nr 137/2023) Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną gemcytabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- C66 nowotwór złośliwy moczowodu,
- C68 nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych narządów moczowych,
- C68.0 cewka moczowa,
- C68.1 gruczoły cewki moczowej,
- C.68.8 zmiana przekraczająca granice układu moczowego,
- C68.9 układ moczowy, nieokreślony,

w przypadkach innych niż określone w ChPL.

W ww. opinii wskazano, że gemcytabina jest rekomendowana jako jedna z części dostępnych schematów w prawie wszystkich liniach leczenia nowotworów moczowodu i cewki moczowej oprócz dopęcherzowej terapii UTUC oraz przy wcześniejszym stosowaniu terapii neoadjuwantowej opartej o związki platyny, a jako jeden z argumentów decyzji wskazano, że stosowanie gemcytabiny we wskazaniach odmiennych niż określone w ChPL, tj. „nowotwór złośliwy moczowodu, nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych narządów moczowych, cewka moczowa, gruczoły cewki moczowej, zmiana przekraczająca granice

układu moczowego, układ moczowy, nieokreślony”, jest zalecane przez wszystkie dostępne wytyczne leczenia towarzystw naukowych polskich i światowych.

Obecna analiza dotyczy zasadności kontynuacji refundacji leków zawierających substancję czynną gemcitabinum we wskazaniach pozarejestacyjnych: załącznik C.28:

- C66 nowotwór złośliwy moczowodu,
- C68 nowotwór złośliwy innych i nieokreślonych narządów moczowych.

Rak przejściowonabłonkowy (urotelialny) jest nowotworem rozwijającym się zarówno w dolnych drogach moczowych (pęcherzu moczowym lub cewce moczowej) i górnych drogach moczowych (miedniczce nerkowej lub moczowodzie). Ok. 95% przypadków raka urotelialnego stanowi rak pęcherza moczowego (RPM), ICD-10 C67. Pozostałe 5% to nowotwory miedniczki nerkowej (ICD-10 C65), moczowodu (ICD-10 C66) oraz cewki moczowej i innych nieokreślonych narządów moczowych (ICD 10 C68).

Dowody naukowe

Wydane od dnia opracowania poprzedniej opinii wytyczne oraz odnalezione dowody naukowe nie dają podstaw do innego wnioskowania.

Wytyczne ESMO 2024 wskazują, że w przypadku leczenia pacjentów z przerzutowym rakiem urotelialnym obecnie istnieją dowody na poziomie I dla trzech strategii leczenia w pierwszej linii: (i) enfortumab vedotine-pembrolizumab, (ii) niwolumab-gemcytabina-cisplatyna dla pacjentów kwalifikujących się do cisplatyny lub (iii) cztery do sześciu cykli ChT opartej na platynie z następowym leczeniem podtrzymującym awelumabem u pacjentów, u których nie wystąpiła progresja choroby podczas leczenia ChT opartego na platynie. Wytyczne NCCN 2026 rekomendują terapię z zastosowaniem gemcytabiny w przypadku raka moczowodu. Rekomendacje EAU 2026 przewidują schematy leczenia przerzutowego raka urotelialnego górnych dróg moczowych (np. moczowodu) z zastosowaniem gemcytabiny.

Główny argument decyzji

Aktualne wytyczne kliniczne.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 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 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).