



DOR.001.27.2026.MKZ

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 28/2026
w dniu 13 lipca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:01.

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

1. Andrzej Dąbrowski
2. Roman Junik
3. Maciej Karaszewski
4. Elżbieta Lanc
5. Marcin Lipowski
6. Ewa Obuchowicz
7. Tomasz Pasierski
8. Jacek Rubik
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni podczas posiedzenia:

1. Robert Bryzek

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 zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Echokardiografia obciążeniowa – wysiłkowa jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Tomografia komputerowa serca jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej - w oparciu o doświadczenia z programu pilotażowego KOS-BAR jako świadczenia gwarantowanego.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Diagnostyka amyloidozы AL jako świadczenia gwarantowanego.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Paxneury (guanfacinum) we wskazaniu: leczenie zespołu nadpobudliwości psychoruchowej z deficytem

uwagi (ADHD) u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 17 lat, dla których leki stymulujące nie są odpowiednie, nie są tolerowane lub okazały się nieskuteczne, w terapii dodanej do kompleksowego programu leczenia ADHD.

7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej wenetoklaks we wskazaniach pozarejestacyjnych:

- leczenie 1. linii w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej,
- leczenie od 2. linii w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową,
- leczenie w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka.

8. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada 9 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia Echokardiografia obciążeniowa – wysiłkowa.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Maciej Karaszewski, Tomasz Pasierski i Roman Junik.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Roman Junik i Tomasz Pasierski.

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

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

Ad 3. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia Tomografia komputerowa serca.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Aleksandra Zasada i Tomasz Pasierski, a przedstawiła Aleksandra Zasada.

W dyskusji Rady udział wzięli Maciej Karaszewski i Tomasz Pasierski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej.

Rada wysłuchała eksperta z dziedziny medycyny chirurgia ogólna i onkologiczna, który odpowiedział także na pytania członków Rady.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz i Aleksandra Zasada.

Maciej Karaszewski przekazał prowadzenie
Tomaszowi Pasierskiemu i opuścił posiedzenie.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Elżbieta Lanc, a przedstawił Andrzej Dąbrowski.

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

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia Diagnostyka amyloidozy AL.

Głos zabrał Tomasz Pasierski.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Ewa Obuchowicz i Elżbieta Lanc.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Tomasz Pasierski, Ewa Obuchowicz, Elżbieta Lanc, Andrzej Dąbrowski i Marcin Lipowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji podsumował dane z raportu dot. leku Paxneury.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Marcin Lipowski i Ewa Obuchowicz.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Marcin Lipowski, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

W trakcie doprecyzowania treści uchwały
Maciej Karaszewski dołączył do posiedzenia
i przejął jego prowadzenie.

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

Tomasz Pasierski opuścił posiedzenie.

Ad 7. Analitik Agencji zaprezentował dane dot. substancji czynnej wenetoklaks we wskazaniach pozarejestacyjnych.

We wstępnej dyskusji głos zabrali Maciej Karaszewski, Jacek Rubik, Ewa Obuchowicz i Andrzej Dąbrowski.

Projekty opinii Rady przygotował i przedstawił Jacek Rubik.

Rada doprecyzowała treść uchwał, w czym udział wzięli Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada:

- 8 głosami „za”, uchwaliła pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks we wskazaniu: leczenie 1. linii w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej (załącznik nr 6 do protokołu),
- 8 głosami „za”, uchwaliła pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks we wskazaniu: leczenie od 2. linii w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową (załącznik nr 7 do protokołu),
- 8 głosami „za”, uchwaliła pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks we wskazaniu: leczenie w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:59.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 87/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Echokardiografia obciążeniowa–wysiłkowa” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Echokardiografia obciążeniowa–wysiłkowa” jako świadczenia gwarantowanego, w wariancie zakładającym wyodrębnienie w wykazie świadczeń gwarantowanych dwóch odrębnych procedur, tj. „echokardiografii obciążeniowej-wysiłkowej” i „echokardiografii obciążeniowej-farmakologicznej”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W dniu 28 kwietnia 2026 r. MZ zlecił zakwalifikowanie echokardiografii obciążeniowej-wysiłkowej jako świadczenia gwarantowanego w zakresie AOS na podstawie wniosku Konsultanta Krajowego w dziedzinie kardiologii.

Choroby układu krążenia obejmują schorzenia serca i naczyń krwionośnych m.in. miażdżycę, niewydolność serca, wady zastawkowe serca, żylną chorobę zakrzepowo-zatorową, migotanie przedsionków. Choroby te cechują się przewlekłym i postępującym charakterem z wysokim ryzykiem wystąpienia nagłych i ciężkich powikłań, takich jak zawał serca czy nagły zgon sercowy. W Polsce w 2023 r. choroby sercowo-naczyniowe odpowiadały za 36,9% wszystkich zgonów. Szacuje się, że częstość występowania tych chorób będzie wzrastać.

Podstawową rolę w diagnostyce i monitorowaniu chorób układu krążenia pełnią nieinwazyjne metody obrazowania, w tym echokardiografia. Echokardiografia jest podstawowym, bezpiecznym i szeroko dostępnym badaniem umożliwiającym ocenę budowy i funkcji serca. Jedną z metod echokardiografii jest echokardiografia obciążeniowa, pozwalająca wykrywać zaburzenia niewidoczne w spoczynku poprzez ocenę odpowiedzi serca na obciążenie wysiłkowe lub farmakologiczne.

Badanie to stanowi istotny element diagnostyki choroby wieńcowej, oceny żywotności mięśnia sercowego, a także kwalifikacji do dalszego postępowania diagnostyczno-terapeutycznego. Jego zalety obejmują brak narażenia na promieniowanie, możliwość powtarzania oraz stosunkowo niski koszt, przy jednoczesnym wysokim znaczeniu klinicznym.

Obecnie w ramach produktów rozliczeniowych w zakresie ambulatoryjnej opieki specjalistycznej funkcjonują dwie procedury odnoszące się do echokardiografii obciążeniowej, które mogą stanowić podstawę sprawozdawania świadczeń w ramach grup zachowawczych. Procedura ICD-9 88.723 „echokardiografia obciążeniowa” uwzględniona w wykazie świadczeń gwarantowanych, zgodnie z obowiązującymi warunkami realizacji określonymi w rozporządzeniu MZ z zakresu AOS wykorzystywana jest do rozliczenia zarówno badania wykonywanego z zastosowaniem obciążenia wysiłkowego, jak i farmakologicznego. Natomiast procedura 88.726 „echokardiografia obciążeniowa–wysiłkowa”, uwzględniona w charakterystykach produktów rozliczeniowych określonych w zarządzeniu Prezesa NFZ odnosi się wyłącznie do badań wykonywanych z wykorzystaniem wysiłku fizycznego.

W konsekwencji zakres przedmiotowy procedury 88.726 częściowo pokrywa się z zakresem procedury 88.723, która obejmuje oba rodzaje obciążenia. Istnienie dwóch procedur o nakładających się zakresach utrudnia jednoznaczną identyfikację rodzaju wykonanego badania w danych sprawozdawczych oraz ogranicza możliwość monitorowania wykorzystania poszczególnych metod diagnostycznych.

W wyniku prac analitycznych AOTMiT w kwietniu 2025 r. uznano, że brak jest przesłanek uzasadniających kwalifikowanie badania echokardiografia obciążeniowa-wysiłkowa jako odrębnej procedury diagnostycznej. Jednocześnie w opinii Prezesa AOTMiT nr 31/2025 z dnia 7 kwietnia 2025 r. wskazano, że zagadnienie wymaga dalszej analizy w zakresie optymalnego sposobu jego uwzględnienia w systemie świadczeń ambulatoryjnej opieki specjalistycznej - w pakietach kardiologicznych w ramach OPŚ.

Dowody naukowe

Zgodnie z wytycznymi Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego (PTK), będącymi polskimi adaptacjami wytycznych Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ESC) oraz innych europejskich towarzystw naukowych, echokardiografia obciążeniowa stanowi istotne narzędzie diagnostyczne i prognostyczne. Badanie może być wykonywane podczas wysiłku fizycznego lub z zastosowaniem obciążenia farmakologicznego (najczęściej dobutaminy) i umożliwia ocenę m.in. niedokrwienia mięśnia sercowego, rezerwy kurczliwości, dynamicznych zmian nasilenia wad zastawkowych, czy zmian ciśnień w krążeniu płucnym oraz odpowiedzi układu sercowo-naczyniowego na wysiłek. Szczególne znaczenie

echokardiografia obciążeniowa odgrywa w diagnostyce przewlekłych zespołów wieńcowych, wad zastawkowych serca, wybranych kardiomiopatii oraz w sytuacjach, gdy ocena spoczynkowa nie wyjaśnia zgłaszanych przez pacjenta objawów.

Analiza wytycznych PTK/ESC wskazuje, że rodzaj obciążenia powinien być dostosowany do stanu klinicznego pacjenta oraz celu diagnostycznego. Obciążenie wysiłkowe preferowane jest u pacjentów zdolnych do wykonania wysiłku fizycznego, natomiast obciążenie farmakologiczne znajduje zastosowanie głównie w przypadku ograniczonej tolerancji wysiłku lub niemożności jego przeprowadzenia, z uwzględnieniem przeciwwskazań do stosowanych leków.

W większości analizowanych systemów wyodrębnia się oddzielne procedury dla echokardiografii obciążeniowej wysiłkowej i farmakologicznej (m.in. Niemcy, Francja, Czechy, Estonia), którym przypisane są różne wyceny. Świadczenia te są dostępne w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej i klasyfikowane jako zaawansowana diagnostyka kardiologiczna.

Wymagania dotyczące personelu i organizacji badania są zróżnicowane, od modeli dopuszczających wykonywanie badania przez wyspecjalizowanych techników (Wielka Brytania), po systemy wymagające obecności lekarza kardiologa oraz spełnienia rygorystycznych kryteriów doświadczenia i liczby wykonanych badań (Niemcy, Francja).

We wszystkich krajach podkreślana jest konieczność zapewnienia odpowiedniego zaplecza technicznego, obejmującego m.in. aparaturę echokardiograficzną, monitorowanie EKG, pomiar ciśnienia tętniczego oraz sprzęt do przeprowadzania prób wysiłkowych lub podawania leków obciążających. Różnice dotyczą natomiast szczegółowych wymagań kompetencji personelu oraz sposobu organizacji pracy zespołu.

W przekazanej opinii, Konsultant Krajowy w dziedzinie kardiologii wskazał na zasadność wyodrębnienia dwóch odrębnych świadczeń obejmujących echokardiografię obciążeniową wykonywaną z wykorzystaniem obciążenia wysiłkowego oraz obciążenia farmakologicznego. W ocenie Konsultanta rozwiązanie takie znajduje uzasadnienie w istotnych różnicach pomiędzy obiema metodami diagnostycznymi, obejmujących cele kliniczne badania, sposób organizacji i realizacji świadczenia, a także zasady interpretacji uzyskiwanych wyników.

Konsultant podkreślił, że obecnie funkcjonująca procedura 88.723 „echokardiografia obciążeniowa” może być wykorzystywana do sprawozdawania zarówno badań wysiłkowych, jak i farmakologicznych, co ogranicza możliwość ich jednoznacznej identyfikacji i monitorowania w danych sprawozdawczych. Zdaniem Konsultanta około 30% badań

rozliczanych obecnie w ramach procedury 88.723 może stanowić echokardiografia obciążeniowa wykonywana z zastosowaniem wysiłku fizycznego.

Dodatkowo Konsultant zwrócił uwagę na konieczność zapewnienia odpowiednich kompetencji personelu realizującego świadczenie. W jego ocenie lekarz kardiolog wykonujący badanie powinien posiadać kwalifikacje umożliwiające samodzielne przeprowadzenie oraz interpretację echokardiografii obciążeniowej. Potwierdzeniem posiadania wymaganych kompetencji mogłoby być udokumentowane ukończenie specjalistycznych kursów i szkoleń uznawanych przez właściwe towarzystwa naukowe lub Konsultanta Krajowego, w tym np. uzyskanie certyfikatów Europejskiego Towarzystwa Obrazowania Sercowo-Naczyniowego (EACVI) lub Asocjacji Echokardiografii Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego.

Problem ekonomiczny

Analiza danych NFZ wykazała, że procedury 88.723 echokardiografia obciążeniowa i 88.726 echokardiografia obciążeniowa-wysiłkowa są aktualnie sprawozdawane zarówno w ramach leczenia szpitalnego, jak i ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Ponadto, w latach 2022-2025 zdecydowana większość badań echokardiografii obciążeniowej była realizowana w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej, która odpowiadała za około 81% świadczeń sprawozdanych w ramach procedury 88.723 oraz 90% świadczeń sprawozdawanych w ramach procedury 88.726.

Aktualnie, procedura 88.726 uwzględniona w produktach rozliczeniowych odnosi się do badań wykonywanych z zastosowaniem obciążenia wysiłkowego, natomiast procedura 88.723 obejmuje zarówno echokardiografię z obciążeniem wysiłkowym, jak i farmakologicznym. W efekcie badania wysiłkowe mogą być sprawozdawane w ramach obu procedur, podczas gdy badania farmakologiczne wyłącznie w ramach procedury 88.723. Taki sposób definiowania procedur ogranicza możliwość jednoznacznej identyfikacji rodzaju wykonanego badania na podstawie danych sprawozdawczych oraz utrudnia monitorowanie wykorzystania poszczególnych metod diagnostycznych.

Dodatkowo analiza wykazała, że proponowana wycena punktowa echokardiografii obciążeniowej-wysiłkowej i echokardiografii obciążeniowej-farmakologicznej mieści się w zakresie wycen produktów rozliczeniowych, w ramach których obecnie finansowane są badania echokardiografii obciążeniowej. Oznacza to, że proponowane zmiany dotyczą przede wszystkim sposobu identyfikacji i sprawozdawania świadczeń, a nie zakresu finansowanych procedur.

Ocenę potencjalnych skutków proponowanych zmian dla systemu ochrony zdrowia przeprowadzono w dwóch wariantach:

- wariant 1 – zakładający zastąpienie obecnie funkcjonującej w wykazie świadczeń gwarantowanych procedury 88.723 „echokardiografia obciążeniowa” procedurą 88.726 „echokardiografia obciążeniowa-wysiłkowa”;
- wariant 2 - zakładający wyodrębnienie w wykazie świadczeń gwarantowanych dwóch odrębnych procedur, tj. „echokardiografii obciążeniowej-wysiłkowej” i „echokardiografii obciążeniowej-farmakologicznej”. Wariant ten jest optymalny i powinien zostać przyjęty przez Radę.

Przeprowadzona analiza wskazuje, że niezależnie od przyjętego wariantu proponowane zmiany nie powinny wpływać na liczbę wykonywanych badań echokardiografii obciążeniowej ani na dostępność świadczeń dla pacjentów. Ich zasadniczym efektem byłoby zwiększenie przejrzystości systemu sprawozdawczości oraz poprawa możliwości monitorowania wykorzystania poszczególnych rodzajów badań. Ewentualny wzrost kosztów po stronie płatnika publicznego mógłby wynikać wyłącznie ze zwiększenia całkowitej liczby realizowanych świadczeń, a nie z samego wprowadzenia zmian w zakresie definiowania procedur. Proponowana wycena punktowa echokardiografii obciążeniowej wysiłkowej oraz farmakologicznej (150 punktów) mieści się w zakresie wycen produktów rozliczeniowych, w ramach których badania te są obecnie finansowane. Analizowane warianty nie wymagają zatem zasadniczych zmian w sposobie finansowania świadczeń.

Główne argumenty decyzji

- Świadczenie jest niezbędne w diagnostyce chorób sercowo-naczyniowych;
- Proponowana zmiana ma charakter wyłącznie porządkujący, zwiększy przejrzystość zasad finansowania badań echokardiografii obciążeniowej;
- Rozdzielenie badania wysiłkowego od farmakologicznego ECHO nie spowoduje zwiększenia kosztów inkrementalnych płatnika, a umożliwi identyfikację i sprawozdawanie świadczeń, a nie zakresu finansowanych procedur.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DRiSSOZ.4100.1.2026 „Echokardiografia obciążeniowa–wysiłkowa”, data ukończenia: 09.07.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 88/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Tomografia komputerowa serca” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Tomografia komputerowa serca” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Badanie tomografii komputerowej serca jest nieinwazyjną metodą obrazowania o wysokiej rozdzielczości przestrzennej i krótkim czasie akwizycji danych, umożliwiającą uzyskanie trójwymiarowych obrazów i szczegółową ocenę anatomii serca i naczyń krwionośnych. W wybranych protokołach badanie pozwala również na ocenę parametrów czynnościowych serca. Nieinwazyjne metody diagnostyki obrazowej umożliwiają wczesne wykrywanie zmian anatomicznych i czynnościowych bez konieczności wykonywania procedur obciążających pacjenta. Badania tomografii komputerowej znajdują zastosowanie zarówno w diagnostyce ambulatoryjnej, jak i w stanach nagłych, a także w planowaniu i monitorowaniu leczenia interwencyjnego i chirurgicznego. Tomografia komputerowa serca nie stanowi pojedynczego badania, lecz grupę procedur wykorzystujących różne protokoły akwizycji i rekonstrukcji danych, dostosowane do konkretnego problemu klinicznego. Obejmują one zarówno krótkie badania niewymagające podania środka kontrastowego, takie jak ocena stopnia zwężenia tętnic wieńcowych, jak i kompleksowe badania kontrastowe pozwalające na ocenę anatomii serca, tętnic i żył wieńcowych oraz innych struktur układu sercowo-naczyniowego.

Dowody naukowe

Do analiz włączono 9 dokumentów wytycznych klinicznych Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego (PTK), stanowiących polską adaptację europejskich wytycznych ESC (European Society of Cardiology). Zgodnie

z wytycznymi badanie tomografii komputerowej serca jest uznawane za jedną z podstawowych metod diagnostycznych w ocenie choroby wieńcowej. Jest także wykorzystywane w stratyfikacji ryzyka sercowo-naczyniowego, m.in. poprzez ocenę wskaźnika zwapnienia tętnic wieńcowych oraz w ocenie morfologii i zwapnienia zastawek serca, w szczególności w kwalifikacji do procedur przezcewnikowych, takich jak TAVI. Badanie wykorzystywane jest również do oceny funkcjonowania protez zastawkowych. Ponadto, tomografia komputerowa serca stanowi uzupełnienie echokardiografii w diagnostyce infekcyjnego zapalenia wsierdza oraz kardiomiopatii, zwłaszcza w przypadkach niejednoznacznych wyników badania echokardiograficznego. Wytyczne podkreślają także istotną rolę tomografii komputerowej serca w planowaniu zabiegów ablacji migotania przedsionków oraz w diagnostyce chorób aorty.

Największą rolę TK serca odgrywa w diagnostyce choroby wieńcowej. Badanie to pozwala często na uniknięcie interwencyjnej koronarografii.

Problem ekonomiczny

Analiza danych dotyczących liczby sprawozdawanych procedur ICD-9 związanych z obrazowaniem serca i naczyń krwionośnych oraz odpowiadających im produktów rozliczeniowych wykazała, że około 80% procedur oznaczonych kodem 87.420 Tomografia komputerowa serca było już realizowanych i rozliczanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Szczegółowa analiza produktów kontraktowych w lecnictwie szpitalnym, w ramach których sprawozdawana jest procedura 87.420, sugeruje, że obecny podział świadczeń pomiędzy AOS a lecnictwo szpitalne jest w dużej mierze dostosowany do stanu klinicznego pacjentów oraz charakteru udzielanych świadczeń. W konsekwencji proponowana zmiana polegająca na uwzględnieniu procedury 87.420 Tomografia komputerowa serca w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS ma charakter porządkowy i doprecyzowujący obowiązujący katalog świadczeń. Na podstawie przeprowadzonych analiz nie przewiduje się, aby jej wdrożenie skutkowało istotnym wzrostem liczby wykonywanych badań lub generowało dodatkowe koszty po stronie płatnika publicznego.

Główne argumenty decyzji

- świadczenie o szerokim zastosowaniu w diagnostyce chorób sercowo-naczyniowych, szczególnie w diagnostyce choroby wieńcowej;
- proponowana zmiana ma charakter porządkujący i może zwiększyć przejrzystość zasad finansowania świadczeń oraz lepiej odzwierciedlać aktualną praktykę kliniczną w zakresie wykorzystania tomografii komputerowej serca;

- *zakwalifikowanie ocenianego świadczenia opieki zdrowotnej jako świadczenia gwarantowanego nie wpłynie na zwiększenie obciążenia płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DRiSSOZ.4100.1.2026 „Tomografia komputerowa serca”, data ukończenia: 09.07.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 89/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami
leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej” jako świadczenia
gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej” jako świadczenia gwarantowanego, pod warunkiem przyjęcia kryteriów kwalifikacji analogicznych do programu pilotażowego KOS-BAR.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej: Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu: leczenia szpitalnego, ambulatoryjnej opieki specjalistycznej oraz rehabilitacji leczniczej, w oparciu o doświadczenia z programu pilotażowego KOS-BAR.

Przedmiotem oceny jest model kompleksowej i skoordynowanej opieki nad dorosłymi pacjentami z otyłością, którego celem jest zapewnienie ciągłości i koordynacji procesu diagnostyczno-terapeutycznego, a także poprawa jego efektywności organizacyjnej.

Model opieki obejmuje pełną ścieżkę postępowania z pacjentem, począwszy od diagnostyki przedoperacyjnej i przygotowania pacjenta przez zespół wielodyscyplinarny do leczenia chirurgicznego, poprzez przeprowadzenie zabiegu bariatrycznego, aż po długoterminową opiekę pooperacyjną. W ramach świadczenia przewidziano monitorowanie pacjenta pod kątem występowania powikłań wczesnych i późnych oraz zapewnienie wsparcia psychologicznego,

dietetycznego i rehabilitacyjnego, realizowanego zarówno przed zabiegiem, jak i po jego wykonaniu, zgodnie z indywidualnymi potrzebami pacjenta.

Populacja, której dotyczy wnioskowane świadczenie to pacjenci od 18. r.ż.:

z rozpoznaniem ICD-10: E66.0 Otyłość spowodowana nadmierną podażą energii, E66.1 Otyłość polekowa, E66.2 Ciężka otyłość z hipowentylacją płucową; E66.8 Inne postacie otyłości, E66.9 Otyłość, nieokreślona.

BMI ≥ 35 kg/m² lub BMI 30–34,9 kg/m² u świadczeniobiorców, u których chirurgicznie indukowana redukcja masy ciała może przynieść potencjalną poprawę lub ustąpienie w zakresie co najmniej jednej z chorób wywołanych otyłością.

Powyższe, przyjęte w proponowanym świadczeniu kryteria kwalifikacji odnoszące się do wartości wskaźnika BMI są szersze w stosunku do kryteriów przyjętych w programie pilotażowym KOS-BAR oraz dla świadczenia opieki zdrowotnej „Chirurgiczne leczenie otyłości” znajdującego się w zał. 4 do Rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (Dz.U. z 2023 r. poz. 870 z późn. zm.).

W programie pilotażowym kryteria odnoszące się do wskaźnika BMI były następujące:

BMI ≥ 40 kg/m² u świadczeniobiorców w wieku od 18. roku życia z rozpoznaniem ICD-10: E66.0 Otyłość spowodowana nadmierną podażą energii;

BMI 35–40 kg/m² u świadczeniobiorców, u których chirurgicznie indukowana redukcja masy ciała może przynieść potencjalną poprawę w zakresie chorób wywołanych otyłością.

Wytyczne praktyki klinicznej

Zidentyfikowano 9 dokumentów wytycznych klinicznych z lat 2020–2026 o charakterze międzynarodowym i krajowym. W 5 dokumentach wytycznych (NICE 2026, ISO 2026, iCARDIO 2025, CABPS 2021, EAES 2020) wskazano, że operację zaleca się/należy rozważyć u osób z BMI ≥ 40 kg/m². Natomiast polski konsensus ekspertów zaleca leczenie chirurgiczne u pacjentów z BMI ≥ 35 kg/m² niezależnie od występowania chorób współistniejących (Polski Konsensus 2025). W dokumencie iCARDIO 2025 zaleca się leczenie chirurgiczne u pacjentów z BMI ≥ 35 kg/m² wyłącznie w przypadku występowania chorób współistniejących. Wytyczne CABPS 2021/EAS 2020 wskazują, że można ją rozważyć/należy rozważyć w tej grupie pacjentów. Wytyczne brytyjskie i włoskie jasno rekomendują operację u osób z BMI 35–39,9 kg/m² i chorobami współistniejącymi (NICE 2026, ISO 2026). Dla niższych wartości BMI (≥ 30 kg/m²) operacja może być rozważana, głównie u pacjentów z cukrzycą typu 2 oporną

na leczenie lub innymi poważnymi chorobami współistniejącymi, zwłaszcza przy wysokim ryzyku sercowo-naczyniowym. Dodatkowo wskazuje się, że operację należy rozważyć, gdy otyłość uniemożliwia inne leczenie lub w celu poprawy kontroli chorób związanych z otyłością.

Wytyczne podkreślają konieczność świadczenia kompleksowej opieki przedoperacyjnej, uwzględniającej m. in. aspekty kliniczne, metaboliczne, żywieniowe oraz ocenę psychologiczną, zapewnionej przez wielospecjalistyczny zespół (NICE 2026, Polski Konsensus 2025, iCARDIO, EAES 2020, BOMSS 2020). W polskim konsensusie ekspertów oraz w brytyjskich wytycznych szczegółowo określono zakres przedoperacyjnych badań laboratoryjnych, które pacjent powinien mieć wykonane przed zabiegiem (Polski Konsensus 2025, BOMSS 2025). Dodatkowo, w polskich wytycznych wskazano minimalny i optymalny czas potrzebny na przygotowanie pacjenta do zabiegu, odpowiednio 3 mies. oraz 6–9 mies.

Wybór metody operacyjnej powinien być zindywidualizowany, przy czym najczęściej rekomendowane są rękawowa resekcja żołądka (SG) oraz pomostowanie żołądkowe Roux-en-Y (RYGB) wykonywane techniką laparoskopową.

Wszystkie analizowane wytyczne zgodnie podkreślają kluczowe znaczenie opieki pooperacyjnej, która powinna mieć charakter długoterminowy i wielodyscyplinarny. W wytycznych iCARDIO 2025 wskazano okres monitorowania pooperacyjnego wynoszący 6–12 mies., natomiast w NICE 2026 oraz BOMSS 2020 wskazano, że należy zapewnić pacjentowi opiekę przez min. 2 lata. Aktywność fizyczna przed zabiegiem nie jest rutynowo zalecana z uwagi na brak wystarczających danych naukowych (Polski Konsensus 2025, ERAS 2021), natomiast po operacji stanowi istotny element terapii i powinna być systematycznie wdrażana oraz wzmacniana poprzez prowadzenie poradnictwa (Polski Konsensus 2025, ASMBS 2025, NICE 2026, CABPS 2021).

Wytyczne ERAS 2021 wskazują na występowanie silnego związku między „wolumenem” zabiegów wykonywanych w danym ośrodku a wynikami leczenia chirurgicznego, wskazując na korzystniejsze efekty w ośrodkach o większym doświadczeniu. Zespół wielodyscyplinarny uczestniczący w procesie leczenia pacjenta z otyłością powinien posiadać odpowiednie kompetencje (NICE 2026).

Problem ekonomiczny

Niezależnie od programu pilotażowego, opieka nad pacjentami z otyłością olbrzymią jest finansowana w ramach obowiązujących świadczeń gwarantowanych realizowanych w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej, leczeniu szpitalnym oraz rehabilitacji leczniczej.

Populację docelową dla projektowanego świadczenia oszacowano na podstawie prognoz wykorzystujących dane NFZ z lat 2019–2025, uwzględniając pacjentów

potencjalnie objętych kontynuacją modelu KOS-BAR oraz pacjentów leczonych chirurgicznie z powodu otyłości poza programem.

W wariantcie podstawowym prognozowane wydatki płatnika publicznego w latach 2027–2029, w:

- scenariuszu „istniejącym” wynoszą odpowiednio: w 2027 r.: 356 330 109,50 zł; 2028 r.: 382 407 756,74 zł i 2029 r.: 408 484 873,35 zł;
- scenariuszu „nowym” wzrastają do: w 2027 r.: 386 207 123,79 zł; 2028 r.: 414 393 317,63 zł i 2029 r.: 442 580 352,17 zł.

Koszty inkrementalne, stanowiące różnicę pomiędzy scenariuszem „nowym” a „istniejącym”, wykazują tendencję wzrostową w całym okresie analizy, niezależnie od przyjętego wariantu oszacowań (minimalnego, podstawowego i maksymalnego), co wynika przede wszystkim z rozszerzenia zakresu i dostępności kompleksowej opieki nad pacjentami z otyłością.

Główne argumenty decyzji:

- Proponowane świadczenie stanowi rozwinięcie rozwiązań organizacyjnych testowanych w ramach programu pilotażowego KOS-BAR i odpowiada na zidentyfikowaną potrzebę zapewnienia kompleksowej, skoordynowanej oraz długoterminowej opieki nad pacjentami z otyłością.
- Projekt świadczenia zawiera szereg elementów sprzyjających poprawie jakości opieki, bezpieczeństwa leczenia oraz osiągnięciu trwałych efektów zdrowotnych.

Uwagi Rady:

- Wnioski z programu pilotażowego odnoszą się do populacji węższej i brak podstaw, aby ekstrapolować niniejsze wyniki na szerszą populację.
- Proponowana w projekcie populacja docelowa świadczenia stanowiłaby istotne rozszerzenie w stosunku do programu pilotażowego, jak i większości analizowanych wytycznych międzynarodowych. Tak szerokie ujęcie wskazań: wykraczałoby poza populację objętą KOS-BAR oraz generuje znaczne koszty, stawiając Polskę w awangardzie Europy, podczas gdy większość państw stosuje znacznie bardziej rygorystyczną politykę. Należy rozważyć, czy budżet ochrony zdrowia pozwala na tak kosztowne rozszerzanie kryteriów kwalifikacji do tego świadczenia.
- Proponowana w projekcie nazwa świadczenia – „Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej” – sugeruje objęcie świadczeniem wyłącznie pacjentów z otyłością III stopnia ($BMI \geq 40 \text{ kg/m}^2$), podczas gdy kryteria kwalifikacji obejmują również pacjentów z otyłością II stopnia ($BMI 35,0\text{--}39,9 \text{ kg/m}^2$) oraz I stopnia ($BMI 30,0\text{--}34,9 \text{ kg/m}^2$) z chorobami współistniejącymi. Proponujemy rozważenie zmiany nazwy świadczenia na „Kompleksowa opieka

specjalistyczna nad pacjentami kwalifikowanymi do leczenia metabolicznego/bariatrycznego choroby otyłościowej”.

- *Rozszerzenie kryteriów kwalifikacji do świadczenia będzie wpływało na pogorszenie dostępności do świadczenia i przekroczenie możliwości ośrodków realizujących proponowane świadczenie.*
- *Należy rozważyć zastosowanie telerehabilitacji, co może sprzyjać zwiększeniu uczestnictwa pacjentów w realizacji programu rehabilitacyjnego oraz osiąganiu poprawy sprawności fizycznej u osób z otyłością. W dostępnych badaniach nie raportowano występowania poważnych zdarzeń niepożądanych związanych ze stosowaniem tej formy interwencji, co sugeruje, że telerehabilitacja może stanowić bezpieczną alternatywę dla rehabilitacji realizowanej w formie stacjonarnej.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DMiOSZ.4100.3.2026 „Kompleksowa opieka specjalistyczna nad świadczeniobiorcami leczonymi z powodu otyłości olbrzymiej”, data ukończenia: 08.07.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 90/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Diagnostyka amyloidozy AL” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Diagnostyka amyloidozy AL” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Amyloidozą (skrobiawica) to grupa chorób rzadkich, których wspólną cechą jest pozakomórkowe gromadzenie się w tkankach i narządach nierozpuszczalnych białek o budowie włóknkowej, zwanych amyloidem. Amyloidozą AL (amyloidozą łańcuchów lekkich) stanowi najczęstszy podtyp amyloidozy układowej (70-80%) (ok. 1-1,5 przypadków/100 tys. osób rocznie). Objawy kardiologiczne stanowią część szerokiego spektrum objawów choroby. Gromadzenie się amyloidu w mięśniu sercowym prowadzi do powstania fenotypu kardiomiopatii przerostowej lub restrykcyjnej.

Ministerstwo Zdrowia zleciło rozpatrzenie kwestii wyodrębnienia w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej świadczenia pn. „Diagnostyka amyloidozy AL”.

Świadczenie to jako pakiet badań miałoby być dostępne w ramach poradni kardiologicznej. Pakiet ma obejmować immunofiksację białek surowicy oraz moczu (I86), M83 oznaczenie wolnych łańcuchów lekkich kappa i M85 oznaczenie wolnych łańcuchów lekkich lambda w surowicy wraz z wyliczeniem wskaźnika kappa/lambda. Wszystkie badania wchodzące w skład proponowanego świadczenia (immunofiksacja białek surowicy i moczu [bez kodu ICD-9], M83, M85) są już obecnie objęte finansowaniem ze środków publicznych w ramach świadczeń gwarantowanych. Zgodnie z obowiązującym zarządzeniem Prezesa NFZ badania te można rozliczać w ramach ambulatoryjnych grup świadczeń

specjalistycznych: W12, W13, W41, W42, PPW2. Ponadto wskazane procedury zostały uwzględnione w programach lekowych nr B.145. oraz nr B.162. Ze względu na charakter choroby wnioskowane świadczenie powinno być dostępne nie tylko w specjalistycznych poradniach kardiologicznych, ale również hematologicznych, nefrologicznych, neurologicznych oraz chorób wewnętrznych. W opracowaniu analitycznym nr WS.422.4.2025 z dnia 07.04.2025 r. w ramach projektu „Odwróconej Piramidy Świadczeń” Agencja nie zaopiniowała pozytywnie uwzględnienia świadczenia określanego jako „diagnostyka szpiczaka w amyloidozie” w pakiecie kardiologicznym.

Dowody naukowe

Zgodnie z aktualnymi wytycznymi klinicznymi (Polskiego Towarzystwa Kardiologicznego (2023), Europejskiego Towarzystwa Kardiologicznego (2021) oraz National Comprehensive Cancer Network (2026) wymienione badania laboratoryjne stanowią etap wstępnej diagnostyki amyloidozy AL, a ich czułość jest oceniana na ok. 99%. Takie badania przesiewowe powinny być przeprowadzane u pacjentów z podejrzeniem amyloidozy serca, ponieważ obraz kliniczny amyloidozy AL serca ma charakter nieswoisty, co utrudnia jej wczesne rozpoznanie. Wczesne przeprowadzenie badań jest krytyczne, gdyż amyloidozą AL wymaga pilnej diagnostyki hematologicznej i leczenia przyczynowego - szybkiego włączenia chemioterapii. Tak więc, wynik badań stanowi podstawę do dalszej ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej. Wymienione badania są jednym z etapów kompleksowego procesu diagnostycznego amyloidozy AL serca.

Laboratoryjna diagnostyka amyloidozy nie jest jako pakiet badań odrębnym świadczeniem w kilku krajach - Wielkiej Brytanii, Niemczech, Francji, Czechach, Estonii i Litwie, w których analizowano rozwiązania organizacyjne i refundacyjne w zakresie diagnostyki amyloidozy AL.

Problem ekonomiczny

Dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z rozpoznaną amyloidozą AL w latach 2022–2025 są zbliżone do danych epidemiologicznych, zgodnie z którymi zapadalność na amyloidozę AL w Polsce szacuje się na 370-560 przypadków rocznie. Koszt realizacji pakietu badań wchodzących w skład wnioskowanego świadczenia mógłby wynosić od ok. 2 mln zł do ok 3,7 mln zł w zależności od szacowanej populacji.

Proponowana zmiana nie ogranicza możliwości diagnostycznych lekarza ani nie ułatwia istotnie dostępności badań dla pacjenta. Mogłoby się natomiast wiązać z istotnym wzrostem wydatków płatnika.

Główne argumenty decyzji

- *Badania laboratoryjne z zakresu diagnostyki amyloidozy AL są obecnie wykonywane oraz są objęte finansowaniem ze środków publicznych w ramach świadczeń gwarantowanych.*
- *Nieuwzględnienie wnioskowanego świadczenia w wykazie świadczeń gwarantowanych nie wpłynie na dostępność do poszczególnych badań*
- *Ograniczenie przedmiotowego świadczenia wyłącznie do poradni kardiologicznej byłoby niezasadne. Świadczenie powinno być dostępne dla wszystkich specjalistów, którzy mogą prowadzić diagnostykę różnicową pacjentów z podejrzeniem amyloidozy AL.*
- *Możliwy znaczny wzrost wydatków dla płatnika publicznego w przypadku wyodrębnienia pakietu badań jako odrębnie rozliczanego świadczenia.*
- *Podobne rozwiązania organizacyjne w innych krajach Europy.*

Uwagi Rady:

- *Zasadne byłoby doprecyzowanie nazw procedur M83 i M85, tak by wskazywały jednoznacznie, że badania te dotyczą oznaczenia wolnych łańcuchów lekkich kappa i lambda w surowicy wraz z wyliczeniem stosunku kappa/lambda.*
- *W opisie świadczenia (Kod I86) dotyczącego immunofiksacji białek powinny być wskazane oba materiały: surowica i moczu.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DRiSSOZ.4100.1.2026 „Diagnostyka kardiologiczna amyloidozy serca AL.”, data ukończenia: 09.07.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 91/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Paxneury (guanfacinum) we wskazaniu
dot. leczenia zespołu nadpobudliwości psychoruchowej z deficytem
uwagi (ADHD)

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 7 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473633,*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 6 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473626,*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 5 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473619,*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 4 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473602,*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 3 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473596*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 2 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473589,*
- *Paxneury (guanfacinum), tabl. o przedłużonym uwalnianiu, 1 mg, 28 szt., GTIN: 08436027473572,*

we wskazaniu: leczenie zespołu nadpobudliwości psychoruchowej z deficytem uwagi (ADHD) u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 17 lat, dla których leki stymulujące nie są odpowiednie, nie są tolerowane lub okazały się nieskuteczne, w terapii dodanej do kompleksowego programu leczenia ADHD, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%, pod warunkiem obniżenia ceny leku, tak że koszty terapii nie będą wyższe niż koszty obecnie refundowanego komparatora – atomoksetyny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Paxneury w ww. wskazaniu. Produkt ten został dopuszczony do obrotu przez EMA dn. 26.02.2025 r., jako lek generyczny (lek referencyjny - Intuniv, zarejestrowany dn. 17.09.2015 r.). Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Nie zaproponowano mechanizmu dzielenia ryzyka. Ustalona kategoria refundacyjna, poziom odpłatności oraz grupa limitowa nie budzą zastrzeżeń.

Guanfacyna (substancja czynna produktu Paxneury) jest wybiórczym agonistą receptora adrenergicznego $\alpha 2A$, wykazującym od 15 do 20 razy wyższe powinowactwo do tego podtypu receptora niż do podtypów $\alpha 2B$ i $\alpha 2C$. Guanfacyna jest lekiem niestymulującym. Jej mechanizm działania w ADHD nie został do końca ustalony. Badania przedkliniczne wskazują, że guanfacyna moduluje przepływ sygnałów w obrębie kory przedczołowej i jąder podstawy, na drodze bezpośredniej modyfikacji transmisji synaptycznej noradrenaliny na receptorach $\alpha 2A$ adrenergicznych.

ADHD (ang. Attention Deficit Hyperactivity Disorder) jest często występującym w populacji stanem neurorozwojowym. Jego rozpoznawalność jest najwyższa wśród dzieci i młodzieży: u dzieci wieku 3–12 lat wynosi 7,6%, w wieku 13–18 lat sięga 5,6%, natomiast u osób dorosłych 4,4%. Triada objawów składających się na ADHD u dzieci i młodzieży to deficyt uwagi, impulsywność oraz nadmierna ruchliwość, która nie jest związana z wykonywaną czynnością. Leczenie ADHD u dzieci powinno łączyć interwencje psychospołeczne z farmakoterapią; leczenie to jest procesem przewlekłym, wymagającym regularnej oceny efektów, monitorowania współistniejących czynników i dostosowywania terapii.

Wnioskodawca jako technologię alternatywną dla ocenianej interwencji wskazał inny lek niestymulujący refundowany w leczeniu ADHD, tj. atomoksetynę (ATX). Wybór komparatora jest zasadny i zgodny z wytycznymi praktyki klinicznej.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego włączono badanie RCT (Hervas 2014), w którym oceniano stosowanie guanfacyny o przedłużonym uwalnianiu (GXR) w porównaniu z placebo (PLC) u dzieci i młodzieży z ADHD. Ramię ATX zostało dołączone (porównanie pośrednie), aby zapewnić dane referencyjne względem PLC. Pierwszorzędowym punktem końcowym była zmiana od wartości początkowej do uzyskanej podczas wizyty 15. (tydzień 10 u dzieci i tydzień 13 u młodzieży) wyniku skali ADHD-RS-IV. Redukcja wyniku całkowitego skali ADHD-RS-IV była istotnie statystycznie (IS) większa w grupie GXR niż w ATX (MD=-5,30 pkt [95%CI: -8,47; -2,13], $p=0,001$). Porównanie pośrednie wskazuje na IS większą redukcję wyniku w skali ADHD-RS-IV w grupie GXR w porównaniu do grupy ATX, w zakresie wyniku całkowitego, domeny

„nadpobudliwość/ impulsywność” oraz domeny „nieuwaga” (odpowiednio: MD=-5,1 pkt [95%CI: -8,15; -2,05], $p<0,05$; MD=-2,8 pkt [95%CI: -5,06; -0,54], $p<0,05$ oraz MD=-2,5 pkt [95%CI: -4,83; -0,17], $p<0,05$).

Do przeglądu włączono również dwa badania RCT (Wilens 2012, van Stralen 2020), w których oceniano stosowanie GXR w skojarzeniu z lekiem stymulującym (PS: metylofenidat, amfetamina) vs PLC z PS, u chorych z utrzymującymi się klinicznie istotnymi objawami ADHD, mimo optymalnej terapii PS. W badaniu Wilens 2012, zarówno przy porannym (AM), jak i wieczornym (PM) podawaniu GXR, u pacjentów otrzymujących GXR z PS zaobserwowano istotnie większą poprawę od wartości początkowych do punktu końcowego, mierzoną całkowitym wynikiem ADHD-RS-IV, w porównaniu z pacjentami otrzymującymi PLC z PS (skorygowane o PLC redukcje średnich LS: GXR_{AM} -4,5 [95%CI: -7,5; -1,4], $p=0,002$; GXR_{PM} -5,3 [95%CI: -8,3; -2,3], $p<0,001$). W badaniu van Stralen 2020, poprawa wyniku Global Executive Composite w skali BRIEF-P (I-rzędowy punkt końcowy) była IS większa w grupie GXR+PS niż w PLC+PS (MD=-3,0 pkt [95%CI: -5,9; -0,2], $p=0,0392$). W grupie GXR+PS obserwowano także IS większą niż w grupie PLC+PS poprawę w skalach ADHD-RS-IV (MD=-6,9 pkt [95%CI: -9,8; -4,0], $p<0,0001$), CGI-S (MD=-0,9 pkt [95%CI: -1,4; -0,4], $p=0,0007$) i CGI-I (MD=-0,7 pkt [95%CI: -1,2; -0,3], $p=0,0030$). Zdarzenia niepożądane (AE) łącznie, AE powodujące przerwanie leczenia i ciężkie AE występowały z porównywalną częstością w grupach GXR i ATX (bad. Hervas 2014). W badaniach Wilens 2012 i van Stralen 2020, częstości występowania AE była porównywalna w grupach GXR względem PLC. Najczęściej zgłaszanymi AE były senność, ból głowy, zmęczenie, ból w nadbrzuszu i sedacja; senność i sedacja występowały głównie na początku leczenia.

Istotnym ograniczeniem analizy wnioskodawcy jest brak badań porównujących bezpośrednio GXR z ATX w populacji docelowej. Ponadto, nie odnaleziono badań RCT oceniających stosowanie GXR w skojarzeniu z lekiem stymulującym w porównaniu z ATX (są jedynie porównania vs placebo).

Wytyczne kliniczne

Wytyczne praktyki klinicznej zalecają, jako leki pierwszego wyboru w farmakologicznym leczeniu ADHD, leki psychostymulujące (CBH 2026, NICE 2019/2025, CADDRA 2020, AADPA 2022). W przypadku, gdy psychostymulanty są przeciwwskazane, nietolerowane lub nieskuteczne, zalecane są leki niestymulujące, takie jak atomoksetyna lub guanfacyna (lub inne). Wg CADDRA 2020, jedynie guanfacyna o przedłużonym uwalnianiu została zatwierdzona w Kanadzie do leczenia wspomagającego ADHD w skojarzeniu z lekami psychostymulującymi. Wytyczne AADPA 2022 pozostawiają do decyzji lekarza włączenie leku niestymulującego (atomoksetyny, guanfacyny lub klonidyny) jako uzupełnienia leczenia pierwszego rzutu.

Problem ekonomiczny

Celem analizy ekonomicznej wnioskodawcy była ocena kosztów stosowania produktu leczniczego Paxneury (guanfacyna, PXN) stosowanego w monoterapii lub w skojarzeniu z lekiem stymulującym - metylofenidatem (MPH). Stosowanie PXN w monoterapii lub w skojarzeniu z MPH w miejsce atomoksetyny wiąże się z wyższymi kosztami z każdej z uwzględnionych perspektyw (NFZ, wspólnej oraz pacjenta, w horyzoncie 1 roku).

Finansowanie leku Paxneury ze środków publicznych w populacji docelowej będzie wiązało się ze wzrostem wydatków płatnika publicznego. Prognozowany wzrost wydatków całkowitych wyniesie około 2,1 mln PLN w I. roku oraz około 2,7 mln PLN w II. roku analizy. W perspektywie wspólnej wzrost wydatków wyniesie odpowiednio około 3,4 mln PLN i około 4,5 mln PLN, oraz w perspektywie pacjenta 1,3 mln i 1,8 mln PLN. Wzrost wydatków wynika z kosztu terapii PXN (oraz PXN+MPH), który jest wyższy od kosztu leczenia atomoksetyną.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 5 rekomendacji pozytywnych (AWMSG 2025, PBAC 2018, HAS 2017, SMC 2016, ZN 2016), 2 pozytywne warunkowo (CDC-AMC 2026a, CDC-AMC 2026b) oraz 2 negatywne (PBAC 2017, CADTH 2013). Większość rekomendacji pozytywnych wskazywała, że guanfacyna odpowiada na niezaspokojoną potrzebę zdrowotną u pacjentów, u których psychostymulanty są przeciwwskazane, nietolerowane lub nieskuteczne. Podkreślano skuteczność leku w redukcji objawów ADHD oraz ograniczoną liczbę alternatyw terapeutycznych. Pomimo niepewności dotyczących skuteczności długoterminowej i efektywności kosztowej, większość agencji uznała stosunek korzyści do ryzyka za pozytywny w dobranej populacji pacjentów. Rekomendacje warunkowo pozytywne wskazują, że korzyści ze stosowania guanfacyny przewyższają niepewności, jednak refundacja powinna być ograniczona do określonych grup pacjentów oraz obwarowana dodatkowymi warunkami. Negatywne rekomendacje wynikały z niepewności dotyczącej skuteczności klinicznej i opłacalności kosztowej oraz z ograniczonych dowodów w czasie przeprowadzania ocen.

Według wnioskodawcy, produkt leczniczy Paxneury jest finansowany w ośmiu krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji

- Niezaspokojona potrzeba zdrowotna we wnioskowanej populacji;
- Skuteczność wykazana w RCT względem placebo;
- Skuteczność porównywalna z komparatorem (porównania pośrednie);
- Pozytywne rekomendacje towarzystw naukowych;
- W większości pozytywne rekomendacje refundacyjne;
- Koszt istotnie przewyższa koszt komparatora.

Uwagi Rady dotyczące dwóch dodatkowych kwestii zawartych w zleceniu Ministra Zdrowia:

1. Zawarcie dodatkowego warunku w zapisie wskazania refundacyjnego, pozwalającego na zastosowanie przed guanfacyną atomoksetyny jako leku pierwszego wyboru, jest niezasadne. Wprawdzie stanowisko polskiego Centrum CBT z 2023 r. wskazuje, że „zalecane jest rozpoczynanie leczenia farmakologicznego dzieci lub młodzieży z ADHD od włączenia leku psychostymulującego lub atomoksetyny”, jednak takie podejście kliniczne jest odosobnione. Wszystkie najnowsze wytyczne towarzystw naukowych (CBH 2026, NICE 2019/2025, CADDRA 2020, AADPA 2022) zgodnie rekomendują leki psychostymulujące jako leki pierwszego wyboru w leczeniu ADHD. Wytyczne zalecają atomoksetynę w drugiej linii leczenia, po uprzednim zastosowaniu leków psychostymulujących. Wybór atomoksetyny, jako komparatora dla ocenianej technologii, jest zgodny z ww. rekomendacjami zagranicznymi. Ponadto, tak zmodyfikowane wskazanie byłoby niezgodne ze wskazaniem rejestracyjnym (off-label).
2. Rozszerzenie docelowej populacji o pacjentów z utrzymującymi się klinicznie istotnymi objawami ADHD, mimo optymalnej terapii stymulantem, którzy otrzymaliby dodatkowo guanfacynę jako leczenie uzupełniające (add-on) do stymulantu, może być rozważone. Wyodrębnienie tej grupy jest klinicznie zasadne, ponieważ w badaniach klinicznych wykazano skuteczność skojarzenia guanfacyny XR z lekiem psychostymulującym w terapii ADHD (Wilens 2012 oraz van Stralen 2020). Ponadto, wytyczne kanadyjskie CADDRA 2020 uwzględniają stosowanie terapii skojarzonej. Dodatkowo taka terapia jest zarejestrowana w USA i Kanadzie. Należy jednak podkreślić, że zapis wskazania rejestracyjnego uniemożliwia jego precyzyjną interpretację. Nie można jednoznacznie stwierdzić, że zastosowanie guanfacyny w skojarzeniu z lekiem psychostymulującym mieści się we wskazaniu rejestracyjnym; jeżeli nie, to uwzględnienie „nowej populacji” należy traktować jako wskazanie pozarejestracyjne (off-label), które powinno być rozpatrywane w ramach odrębnego postępowania refundacyjnego.

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.4130.7.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Paxneury (guanfacyna) we wskazaniu: Leczenie zespołu nadpobudliwości psychoruchowej z deficytem uwagi (ADHD) u dzieci i młodzieży w wieku od 6 do 17 lat, dla których leki stymulujące nie są odpowiednie, nie są tolerowane lub okazały się nieskuteczne, w terapii dodanej do kompleksowego programu leczenia ADHD”, data ukończenia: 3 lipca 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 98/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku

w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie 1. linii pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie 1. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotyczy zmian zapisów programu lekowego B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” o zapis dotyczący zastosowania substancji czynnej wenetoklaks we wskazaniu pozarejestacyjnym:

- *leczenie 1. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej.*

Zapis ten powoduje rozszerzenie populacji wnioskowanej o dzieci w wieku od 3 miesięcy do 18 lat, w której lek ten jest niezarejestrowany.

Liczebność wnioskowanej populacji wg. szacunku ekspertów to 3-10 osób.

Ostre białaczki są najczęstszymi nowotworami wieku dziecięcego i stanowią ok. 26% wszystkich nowotworów w tej populacji. Najczęściej diagnozowana jest

ostra białaczka limfoblastyczna (ALL), która stanowi 80% wszystkich białaczek rozpoznawanych u dzieci. Natomiast ostra białaczka nieлимfoblastyczna szpikowa (ANLL-AML) występuje w około 15% przypadków. Wczesne objawy białaczek u dzieci nie są charakterystyczne, często imitują objawy chorób wieku dziecięcego, dlatego mogą być przeoczone i zbagatelizowane. Opóźniają tym samym rozpoznanie i przyczyniają się do gorszych wyników leczenia. Do najczęstszych niespecyficznych objawów zaliczamy: gorączkę niewiadomego pochodzenia, osłabienie, utratę apetytu i bóle kostno-stawowe. Rokowanie w AML jest gorsze niż w ALL, a długoletnie remisje bez nawrotów występują tylko u około połowy pacjentów.

Zgodnie z aktualnym programem lekowym B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” obecnie u pacjentów pediatrycznych refundowany jest gemtuzumab ozogamycyny GO (w 1. linii leczenia w skojarzeniu z daunorubicyną i cytarabiną (bez względu na status mutacji FLT3) - w wieku 15 lat i powyżej). Niemniej, zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, finansowanie dla pacjentów w wieku 15-18 lat jest dostępne w ramach programu lekowego, ale wyłącznie ze schematem chemioterapii przeznaczonym dla pacjentów dorosłych, niemających zastosowania u dzieci, co wyklucza możliwość finansowania GO w tej grupie wiekowej, możliwe jedynie wykorzystanie środków charytatywnych.

Wenetoklaks jest silnie działającym, selektywnym inhibitorem białka antyapoptotycznego Bcl-2 (ang. B-cell lymphoma 2). Nadekspresję Bcl-2 wykazano w komórkach PBL i OBS, gdzie jest mediatorem przeżycia komórki nowotworowej, co wiązano z opornością na chemioterapeutyki. Wenetoklaks wiąże się bezpośrednio z bruzdą wiążącą BH3 w Bcl-2, wypierając zawierające motyw BH3 białka proapoptotyczne, takie jak BIM, co zapoczątkowuje wzrost przepuszczalności zewnętrznej błony mitochondrialnej (ang. mitochondrial outer membrane permeabilization, MOMP), aktywację kaspaz i programowaną śmierć komórki. W badaniach nieklinicznych wenetoklaks wykazał działanie cytotoksyczne w komórkach nowotworowych z nadekspresją Bcl-2.

Dowody naukowe

W analizie skuteczności i bezpieczeństwa uwzględniono następujące publikacje, w których populacje nie były jednorodne, tzn.: w ramach badań analizowano szerokie spektrum populacji (obejmujące również inne wnioskowane wskazania) od pacjentów m.in.: z nowo zdiagnozowaną AML czy też AML oporną na leczenie / po HSCT:

- Arora 2026 – retrospektywna, jednośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną skojarzenia wenetoklaksu i azacytydyny jako terapii pomostowej przed przeszczepem w przypadku nawrotowej lub opornej na leczenie/po allo HSCT ostrej białaczki szpikowej u dzieci;

- *Arcourt 2026 – retrospektywna, wieloośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną wenetoklaksu i azacytydyny u dzieci z pierwotną lub wtórną, wielokrotnie nawracającą/oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *Karol 2024 – badanie I. fazy, open-label oceniające skuteczność wenetoklaksu w monoterapii lub w skojarzeniu z chemioterapią w populacji dzieci, młodzieży i młodych dorosłych z nawrotową lub oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *LeBlanc 2024 – oceniające skuteczność leczenia środkami hipometylującymi i wenetoklaksem u nowo zdiagnozowanych dzieci, młodzieży i dorosłych z ostrą białaczką szpikową, którzy nie kwalifikują się do standardowej terapii oraz u pacjentów z nawrotem lub opornością na leczenie/po alloHSCT;*
- *Wen 2024 – ocena wskaźnika remisji, toksyczność i farmakokinetyka schematów indukcyjnych opartych na wenetoklaksie u dzieci z nieleczoną ostrą białaczką szpikową;*
- *Winters 2020 – ocena skuteczności wenetoklaksu i azacytydyny w leczeniu zespołu mielodysplastycznego i ostrej białaczki szpikowej u pacjentów pediatrycznych.*

Nie odnaleziono badań z grupą kontrolną, obejmującą opcje terapeutyczne stosowane w warunkach polskich, stąd przedstawione wyniki z powyższych publikacji odnoszą się tylko do pacjentów leczonych WEN+AZA.

W większości odnalezionych publikacji nie analizowano odrębnie dzieci z noworozpoznaną AML niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii (Wen 2024), lecz włączano do badań heterogenne grupy pacjentów, obejmujące zarówno chorych z nowo rozpoznaną AML, jak i pacjentów z nawrotową/oporną chorobą lub po HSCT (Arcourt 2026, LeBlanc 2024, Winters 2020). Włączone do analizy badania oraz wnioski ich autorów wskazują jednak, że skojarzenie wenetoklaksu z azacytydyną może prowadzić do uzyskania wysokich odsetków remisji oraz MRD-. W badaniach pacjenci z nowo rozpoznaną AML leczeni HMA+WEN lub WEN+AZA uzyskiwali odsetki remisji (CR/CRi od 21 do 73%). W badaniu LeBlanc 2024 dwuletnie przeżycie całkowite osiągnęło 75% pacjentów, natomiast mediana EFS u nowo zdiagnozowanych pacjentów wyniosła 38,2 mies. W Arcourt 2026 mediana czasu przeżycia całkowitego (OS) wyniosła 6,1 miesiąca (95% CI: 3,7–10,1). Mediana czasu przeżycia bez progresji choroby (PFS) u 10 pacjentów, którzy osiągnęli całkowitą remisję (CR) lub remisję z niepełną odpowiedzią (CRi) w trakcie terapii WEN+AZA, wyniosła 20 miesięcy (95% CI: 7,63–39,5).

W zakresie oceny bezpieczeństwa najczęściej obserwowano hematologiczne zdarzenia niepożądane, przede wszystkim neutropenię, małopłytkowość, niedokrwistość oraz gorączkę neutropeniczną. Często występowały również

zakażenia oraz działania niepożądane ze strony przewodu pokarmowego (nudności, wymioty, biegunka).

Dostępne dane sugerują potencjalną skuteczność terapii WEN+AZA u pacjentów pediatrycznych z AML, jednak nie pozwalają na wyodrębnienie efektu leczenia oraz oceny bezpieczeństwa wyłącznie u chorych z nowo rozpoznaną AML niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej.

Wytyczne kliniczne

Jedynie wytyczne Konsensusu Ekspertów z 2026 r. odnoszą się wprost do populacji pacjentów pediatrycznych w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (AML). Pozostałe publikacje (PTOK 2020, Shimony 2025, Ciotii 2022) mają charakter ogólny lub odnoszą się do populacji pacjentów poniżej 60 r.ż.

Konsensus Ekspertów 2026 dotyczy leczenia AML u pacjentów pediatrycznych i wskazuje, że wenetoklaks m.in. z azacytydyną (z infuzją limfocytów dawcy (DLI) lub bez DLI) jest jedną z najbardziej obiecujących strategii leczenia nawrotowej lub odpornej AML, natomiast w leczeniu podtrzymującym u pacjentów po allo-HSCT dowody na jego skuteczność są obecnie ograniczone a optymalny czas terapii nie jest znany. Ponadto wenetoklaks mimo wyjątkowej skuteczności i zatwierdzenia przez organy regulacyjne dla dorosłych z nowo zdiagnozowaną AML oraz obiecujących danych u pacjentów pediatrycznych z nawrotową/oporną AML nie jest zatwierdzony do stosowania u dzieci.

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych, które odnosiłyby się do stosowania wenetoklaksu w populacji pacjentów pediatrycznych. Odnaleziono natomiast 6 pozytywnych rekomendacji refundacyjnych (ZN 2021, HAS 2021, SMC 2022, NCPE 2023, NICE 2022, CADTH 2021 - pozytywna warunkowa) dotyczących stosowania wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną lub środkiem hipometylującym (głównie azacytydyną) w populacji osób dorosłych:

- z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML), którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii;
- jako leczenie pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną AML, którzy nie kwalifikują się do standardowej chemioterapii indukcyjnej;
- z AML w wieku 75 lat i więcej, lub u których występują choroby współistniejące uniemożliwiające zastosowanie intensywnej chemioterapii indukcyjnej.

Ponadto, na stronie NICE odnaleziono informację, że ocena wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną w leczeniu AML przed i po alloHSTC u dzieci i dorosłych obecnie jest zawieszona z uwagi na informację przekazaną od wnioskodawcy, że nie procedują już wniosku w tym wskazaniu.

Wpływ na budżet:

W oszacowaniach uwzględniono koszty ocenianej technologii (wenetoklaksu – produkt leczniczy Venclyxto, w skojarzeniu z azacytydyną – produkt leczniczy Azacitidine Accord), koszty komparatorów, koszty podania leków (hospitalizacji pacjentów), koszty diagnostyki i monitorowania leczenia.

Wyniki wariantu podstawowego wpływu na budżet wykazały, że objęcie refundacją terapii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną u pacjentów pediatrycznych w wieku od 3 miesięcy do 18 lat w ramach 1. linii leczenia, spowoduje wzrost wydatków płatnika względem przyjętych komparatorów

- względem AZA w monoterapii:
 - o o ok. [REDACTED] / 184 964,406 PLN [REDACTED];
- względem opieki terminalnej:
 - o o ok. [REDACTED] / 157 981,541 PLN [REDACTED].

Główne argumenty decyzji

- Niezaspokojona potrzeba medyczna w wąskiej populacji pediatrycznej z AML;
- Niewielkie zwiększenie kosztów programu lekowego ze względu na małą liczebność wnioskowanej populacji;
- Obiecujące wyniki prowadzonych obecnie badań u dzieci wskazujące na wysoką skuteczność i korzystny profil bezpieczeństwa;
- Leczenie wskazane w Konsensusie Ekspertów 2026 i wnioskowane przez Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej.

Uwaga Rady

Zdaniem Rady efektywność i bezpieczeństwo leczenia powinny podlegać stałemu monitorowaniu, ze względu na brak rejestracji populacji pediatrycznej.

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), z uwzględnieniem opracowania nr: OTOW.415.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.114. Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0) dotyczących zastosowania substancji czynnej: wenetoklaks we wskazaniach pozarejestacyjnych: 1) leczenie 1. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej, 2) leczenie od 2. linii wenetoklaksem

w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową, 3) leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka”, data ukończenia: 9 lipca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)



Opinia Rady Przejrzystości
nr 99/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
wenetoklaks w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. leczenie od 2. linii pediatrycznych
pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie od 2. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotyczy zmian zapisów programu lekowego B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” o zapis dotyczący zastosowania substancji czynnej wenetoklaks we wskazaniu pozarejestryjnym

- leczenie od 2. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową.*

Zapis ten powoduje rozszerzenie populacji wnioskowanej o dzieci w wieku od 3 miesięcy do 18 lat, w której lek ten jest niezarejestrowany.

Liczebność wnioskowanej populacji wg. szacunku ekspertów to 3-10 osób.

Ostre białaczki są najczęstszymi nowotworami wieku dziecięcego i stanowią ok. 26% wszystkich nowotworów w tej populacji. Najczęściej diagnozowana jest ostra białaczka limfoblastyczna (ALL), która stanowi 80% wszystkich białaczek

rozpoznawanych u dzieci. Natomiast ostra białaczka nieлимfoblastyczna szpikowa (ANLL-AML) występuje w około 15% przypadków. Wczesne objawy białaczek u dzieci nie są charakterystyczne, często imitują objawy chorób wieku dziecięcego, dlatego mogą być przeoczone i zbagatelizowane. Opóźniają tym samym rozpoznanie i przyczyniają się do gorszych wyników leczenia. Do najczęstszych niespecyficznych objawów zaliczamy: gorączkę niewiadomego pochodzenia, osłabienie, utratę apetytu i bóle kostno-stawowe. Rokowanie w AML jest gorsze niż w ALL, a długoletnie remisje bez nawrotów występują tylko u około połowy pacjentów.

Zgodnie z aktualnym programem lekowym B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” obecnie u pacjentów pediatrycznych refundowany jest gemtuzumab ozogamycyny GO (w 1. linii leczenia w skojarzeniu z daunorubicyną i cytarabiną [bez względu na status mutacji FLT3] - w wieku 15 lat i powyżej). Niemniej, zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, finansowanie dla pacjentów w wieku 15-18 lat jest dostępne w ramach programu lekowego, ale wyłącznie ze schematem chemioterapii przeznaczonym dla pacjentów dorosłych, niemających zastosowania u dzieci, co wyklucza możliwość finansowania GO w tej grupie wiekowej, możliwe jedynie wykorzystanie środków charytatywnych.

Wenetoklaks jest silnie działającym, selektywnym inhibitorem białka antyapoptotycznego Bcl-2 (ang. B-cell lymphoma 2). Nadekspresję Bcl-2 wykazano w komórkach PBL i OBS, gdzie jest mediatorem przeżycia komórki nowotworowej, co wiązano z opornością na chemioterapeutyki. Wenetoklaks wiąże się bezpośrednio z bruzdą wiążącą BH3 w Bcl-2, wypierając zawierające motyw BH3 białka proapoptotyczne, takie jak BIM, co zapoczątkowuje wzrost przepuszczalności zewnętrznej błony mitochondrialnej (ang. mitochondrial outer membrane permeabilization, MOMP), aktywację kaspaz i programowaną śmierć komórki. W badaniach nieklinicznych wenetoklaks wykazał działanie cytotoksyczne w komórkach nowotworowych z nadekspresją Bcl-2.

Dowody naukowe

W analizie skuteczności i bezpieczeństwa uwzględniono następujące publikacje, w których populacje nie były jednorodne, tzn.: w ramach badań analizowano szerokie spektrum populacji (obejmujące również inne wnioskowane wskazania) od pacjentów m.in.: z nowo zdiagnozowaną AML czy też AML oporną na leczenie / po HSCT:

- Arora 2026 – retrospektywna, jednośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną skojarzenia wenetoklaksu i azacytydyny jako terapii pomostowej przed przeszczepem w przypadku nawrotowej lub opornej na leczenie/po allo HSCT ostrej białaczki szpikowej u dzieci;

- *Arcourt 2026 – retrospektywna, wielośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną wenetoklaksu i azacytydyny u dzieci z pierwotną lub wtórną, wielokrotnie nawracającą/oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *Karol 2024 – badanie I. fazy, open-label oceniające skuteczność wenetoklaksu w monoterapii lub w skojarzeniu z chemioterapią w populacji dzieci, młodzieży i młodych dorosłych z nawrotową lub oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *LeBlanc 2024 – oceniające skuteczność leczenia środkami hipometylującymi i wenetoklaksem u nowo zdiagnozowanych dzieci, młodzieży i dorosłych z ostrą białaczką szpikową, którzy nie kwalifikują się do standardowej terapii oraz u pacjentów z nawrotem lub opornością na leczenie/po alloHSCT;*
- *Wen 2024 – ocena wskaźnika remisji, toksyczność i farmakokinetyka schematów indukcyjnych opartych na wenetoklaksie u dzieci z nieleczoną ostrą białaczką szpikową;*
- *Winters 2020 – ocena skuteczności wenetoklaksu i azacytydyny w leczeniu zespołu mielodysplastycznego i ostrej białaczki szpikowej u pacjentów pediatrycznych.*

Wyniki przedstawione w opisanych badaniach (Arora 2026, Arcourt 2026, Karol 2024, LeBlanc 2024, Winters 2020) wykazały, że leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną lub innymi substancjami z grupy leków hipometylujących (decytabina) pozwala uzyskać znaczące odsetki remisji, umożliwiając następnie przeprowadzenie przeszczepu HSCT. Leczenie skojarzeniem WEN+AZA umożliwiało uzyskanie remisji u części chorych i stanowiło pomost do przeprowadzenia allo-HSCT poprzez zwiększenie odsetka uzyskiwanych remisji i odpowiedzi MRD-ujemnych.

Należy jednak podkreślić, że skuteczność WEN+AZA była zróżnicowana pomiędzy badaniami – od wysokich odsetków odpowiedzi w części analiz (57%-67%) do bardziej umiarkowanych wyników (26,3%). Największe korzyści obserwowano u chorych, u których uzyskanie odpowiedzi umożliwiało wykonanie przeszczepienia komórek krwiotwórczych. W badaniu Arora 2026 2-letni odsetek OS dla całej kohorty wyniósł 28,6% oraz 57,1% dla pacjentów poddanych HSCT. Wszyscy pacjenci, którzy uzyskali CR/CRi, zostali poddani allo-HSCT. W badaniu LeBlanc 2024 mediana OS w populacji nawrotowej/opornej AML wyniosła 24,7 miesiąca, a 2-letni odsetek OS 54,5%. Mediana EFS wyniosła 11 miesięcy. W badaniu Karol 2024 mediana OS wyniosła 3,5 miesiąca. Natomiast w ramach długoterminowej obserwacji w badaniu Arcourt 2026 mediana OS wyniosła 6,1 miesiąca dla całej kohorty.

W zakresie analizy bezpieczeństwa najczęściej odnotowywano hematologiczne działania niepożądane, zwłaszcza neutropenię, trombocytopenię, niedokrwistość

oraz cytopenie 3–4 stopnia nasilenia. Odnotowywano również występowanie gorączki neutropenicznej i zakażenia, w tym bakteriemie, sepsę oraz zakażenia grzybicze. W części badań obserwowano także objawy ze strony przewodu pokarmowego, zaburzenia metaboliczne oraz lizę guza. Mimo wysokiej częstości ciężkich zdarzeń hematologicznych, profil bezpieczeństwa uznawano za przewidywalny i zgodny z doświadczeniami dotyczącymi leczenia dorosłych chorych na AML. Nie odnotowano zgonów związanych z leczeniem.

Wytyczne kliniczne

Jedynie wytyczne Konsensusu Ekspertów z 2026 r. odnoszą się wprost do populacji pacjentów pediatrycznych w leczeniu ostrej białaczki szpikowej (AML). Pozostałe publikacje (PTOK 2020, Shimony 2025, Ciotii 2022) mają charakter ogólny lub odnoszą się do populacji pacjentów poniżej 60 r.ż.

Konsensus Ekspertów 2026 dotyczy leczenia AML u pacjentów pediatrycznych i wskazuje, że wenetoklaks m.in. z azacytydyną (z infuzją limfocytów dawcy (DLI) lub bez DLI) jest jedną z najbardziej obiecujących strategii leczenia nawrotowej lub opornej AML, natomiast w leczeniu podtrzymującym u pacjentów po allo-HSCT dowody na jego skuteczność są obecnie ograniczone a optymalny czas terapii nie jest znany. Ponadto wenetoklaks mimo wyjątkowej skuteczności i zatwierdzenia przez organy regulacyjne dla dorosłych z nowo zdiagnozowaną AML oraz obiecujących danych u pacjentów pediatrycznych z nawrotową/oporną AML nie jest zatwierdzony do stosowania u dzieci.

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych, które odnosiłyby się do stosowania wenetoklaksu w populacji pacjentów pediatrycznych. Odnaleziono natomiast 6 pozytywnych rekomendacji refundacyjnych (ZN 2021, HAS 2021, SMC 2022, NCPE 2023, NICE 2022, CADTH 2021 - pozytywna warunkowa) dotyczących stosowania wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną lub środkiem hipometylującym (głównie azacytydyną) w populacji osób dorosłych:

- z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML), którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii;
- jako leczenie pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną AML, którzy nie kwalifikują się do standardowej chemioterapii indukcyjnej;
- z AML w wieku 75 lat i więcej, lub u których występują choroby współistniejące uniemożliwiające zastosowanie intensywnej chemioterapii indukcyjnej.

Ponadto, na stronie NICE odnaleziono informację, że ocena wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną w leczeniu AML przed i po alloHSTC u dzieci i dorosłych obecnie jest zawieszona z uwagi na informację przekazaną od wnioskodawcy, że nie procedują już wniosku w tym wskazaniu.

Wpływ na budżet:

W oszacowaniach uwzględniono koszty ocenianej technologii (wenetoklaksu – produkt leczniczy Venclyxto, w skojarzeniu z azacytydyną – produkt leczniczy Azacitidine Accord), koszty komparatorów, koszty podania leków (hospitalizacji pacjentów), koszty diagnostyki i monitorowania leczenia.

Wyniki wariantu podstawowego wpływu na budżet wykazały, że objęcie refundacją terapii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną u pacjentów pediatrycznych w wieku od 3 miesięcy do 18 lat w ramach 2. i kolejnych linii leczenia, spowoduje wzrost wydatków płatnika względem przyjętych komparatorów

- *względem AZA w monoterapii:*
 - *o ok. [REDACTED] / 223 711,740 PLN [REDACTED];*
- *względem opieki terminalnej:*
 - *o ok. [REDACTED] / 192 874,180 PLN [REDACTED].*

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna w wąskiej populacji pediatrycznej z AML;*
- *Niewielkie zwiększenie kosztów programu lekowego ze względu na małą liczebność wnioskowanej populacji;*
- *Obiecujące wyniki prowadzonych obecnie badań u dzieci wskazujące na wysoką skuteczność i korzystny profil bezpieczeństwa;*
- *Leczenie wskazane w Konsensusie Ekspertów 2026 i wnioskowane przez Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej.*

Uwaga Rady

Zdaniem Rady efektywność i bezpieczeństwo leczenia powinny podlegać stałemu monitorowaniu, ze względu na brak rejestracji populacji pediatrycznej.

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), z uwzględnieniem opracowania nr: OTOW.415.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.114. Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0) dotyczących zastosowania substancji czynnej: wenetoklaks we wskazaniach pozarejestacyjnych: 1) leczenie 1. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego)

pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej, 2) leczenie od 2. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową, 3) leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka”, data ukończenia: 9 lipca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)



Opinia Rady Przejrzystości
nr 100/2026 z dnia 13 lipca 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
wenetoklaks w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego, tj. leczenie po przeszczepieniu komórek
krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku
od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną wenetoklaks, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj. leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Dotyczy zmian zapisów programu lekowego B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” o zapis dotyczący zastosowania substancji czynnej wenetoklaks we wskazaniu pozarejestacyjnym:

- *leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka.*

Zapis ten powoduje rozszerzenie populacji wnioskowanej o dzieci w wieku od 3 miesięcy do 18 lat, w której lek ten jest niezarejestrowany.

Liczebność wnioskowanej populacji wg. szacunku ekspertów to 3-10 osób.

Ostre białaczki są najczęstszymi nowotworami wieku dziecięcego i stanowią ok. 26% wszystkich nowotworów w tej populacji. Najczęściej diagnozowana jest ostra białaczka limfoblastyczna (ALL), która stanowi 80% wszystkich białaczek rozpoznawanych u dzieci. Natomiast ostra białaczka nieлимfoblastyczna szpikowa (ANLL-AML) występuje w około 15% przypadków. Wczesne objawy białaczek u dzieci nie są charakterystyczne, często imitują objawy chorób wieku dziecięcego, dlatego mogą być przeoczone i zbagatelizowane. Opóźniają tym samym rozpoznanie i przyczyniają się do gorszych wyników leczenia. Do najczęstszych niespecyficznych objawów zaliczamy: gorączkę niewiadomego pochodzenia, osłabienie, utratę apetytu i bóle kostno-stawowe. Rokowanie w AML jest gorsze niż w ALL, a długoletnie remisje bez nawrotów występują tylko u około połowy pacjentów.

Zgodnie z aktualnym programem lekowym B.114 „Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0)” obecnie u pacjentów pediatrycznych refundowany jest gemtuzumab ozogamycyny GO (w 1. linii leczenia w skojarzeniu z daunorubicyną i cytarabiną [bez względu na status mutacji FLT3] - w wieku 15 lat i powyżej). Niemniej, zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, finansowanie dla pacjentów w wieku 15-18 lat jest dostępne w ramach programu lekowego, ale wyłącznie ze schematem chemioterapii przeznaczonym dla pacjentów dorosłych, niemających zastosowania u dzieci, co wyklucza możliwość finansowania GO w tej grupie wiekowej, możliwe jedynie wykorzystanie środków charytatywnych.

Wenetoklaks jest silnie działającym, selektywnym inhibitorem białka antyapoptotycznego Bcl-2 (ang. B-cell lymphoma 2). Nadekspresję Bcl-2 wykazano w komórkach PBL i OBS, gdzie jest mediatorem przeżycia komórki nowotworowej, co wiązano z opornością na chemioterapeutyki. Wenetoklaks wiąże się bezpośrednio z bruzdą wiążącą BH3 w Bcl-2, wypierając zawierające motyw BH3 białka proapoptotyczne, takie jak BIM, co zapoczątkowuje wzrost przepuszczalności zewnętrznej błony mitochondrialnej (ang. mitochondrial outer membrane permeabilization, MOMP), aktywację kaspaz i programowaną śmierć komórki. W badaniach nieklinicznych wenetoklaks wykazał działanie cytotoksyczne w komórkach nowotworowych z nadekspresją Bcl-2.

Dowody naukowe

W analizie skuteczności i bezpieczeństwa uwzględniono następujące publikacje, w których populacje nie były jednorodne, tzn.: w ramach badań analizowano szerokie spektrum populacji (obejmujące również inne wnioskowane wskazania) od pacjentów m.in.: z nowo zdiagnozowaną AML czy też AML oporną na leczenie / po HSCT:

- Arora 2026 – retrospektywna, jednośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną skojarzenia wenetoklaksu i azacytydyny jako terapii

pomostowej przed przeszczepem w przypadku nawrotowej lub opornej na leczenie/po allo HSCT ostrej białaczki szpikowej u dzieci;

- *Arcourt 2026 – retrospektywna, wieloośrodkowa analiza oceniająca skuteczność kliniczną wenetoklaksu i azacytydyny u dzieci z pierwotną lub wtórną, wielokrotnie nawracającą/oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *Karol 2024 – badanie I. fazy, open-label oceniające skuteczność wenetoklaksu w monoterapii lub w skojarzeniu z chemioterapią w populacji dzieci, młodzieży i młodych dorosłych z nawrotową lub oporną na leczenie/po alloHSCT ostrą białaczką szpikową;*
- *LeBlanc 2024 – oceniające skuteczność leczenia środkami hipometylującymi i wenetoklaksem u nowo zdiagnozowanych dzieci, młodzieży i dorosłych z ostrą białaczką szpikową, którzy nie kwalifikują się do standardowej terapii oraz u pacjentów z nawrotem lub opornością na leczenie/po alloHSCT;*
- *Wen 2024 – ocena wskaźnika remisji, toksyczność i farmakokinetyka schematów indukcyjnych opartych na wenetoklaksie u dzieci z nieleczoną ostrą białaczką szpikową;*
- *Winters 2020 – ocena skuteczności wenetoklaksu i azacytydyny w leczeniu zespołu mielodysplastycznego i ostrej białaczki szpikowej u pacjentów pediatrycznych.*

W badaniach włączonych do analizy klinicznej (Arora 2026, Arcourt 2026, Karol 2024, LeBlanc 2024, Winters 2020) uczestniczyli pacjenci po przeszczepieniu krwiotwórczych komórek macierzystych, jednak wyniki nie były raportowane odrębnie dla tej populacji. Można jednak na ich podstawie wnioskować, że leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną może prowadzić do uzyskania odpowiedzi terapeutycznej i remisji umożliwiającej dalsze leczenie transplantacyjne. Wyniki badań wskazują, że zastosowanie WEN+AZA po HSCT może przyczyniać się do utrzymania remisji oraz ograniczenia ryzyka nawrotu u wybranych pacjentów obciążonych bardzo niekorzystnym rokowaniem. W części badań obserwowano długotrwałe remisje i przeżycia, jednak uzyskane wyniki pochodzą także od pacjentów nawrotowych i nowo zdiagnozowanych.

Profil bezpieczeństwa WEN+AZA był zbliżony do obserwowanego w pozostałych populacjach. Najczęściej występowały hematologiczne działania niepożądane (cytopenie, neutropenia, małopłytkowość) oraz powikłania infekcyjne, w tym gorączka neutropeniczna i zakażenia wymagające hospitalizacji.

Wytyczne kliniczne

Jedynie wytyczne Konsensusu Ekspertów z 2026 r. odnoszą się wprost do populacji pacjentów pediatrycznych w leczeniu ostrej białaczki szpikowej

(AML). Pozostałe publikacje (PTOK 2020, Shimony 2025, Ciotii 2022) mają charakter ogólny lub odnoszą się do populacji pacjentów poniżej 60 r.ż.

Konsensus Ekspertów 2026 dotyczy leczenia AML u pacjentów pediatrycznych i wskazuje, że wenetoklaks m.in. z azacytydyną (z infuzją limfocytów dawcy (DLI) lub bez DLI) jest jedną z najbardziej obiecujących strategii leczenia nawrotowej lub opornej AML, natomiast w leczeniu podtrzymującym u pacjentów po allo-HSCT dowody na jego skuteczność są obecnie ograniczone a optymalny czas terapii nie jest znany. Ponadto wenetoklaks mimo wyjątkowej skuteczności i zatwierdzenia przez organy regulacyjne dla dorosłych z nowo zdiagnozowaną AML oraz obiecujących danych u pacjentów pediatrycznych z nawrotową/oporną AML nie jest zatwierdzony do stosowania u dzieci.

Rekomendacje refundacyjne

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych, które odnosiłyby się do stosowania wenetoklaksu w populacji pacjentów pediatrycznych. Odnaleziono natomiast 6 pozytywnych rekomendacji refundacyjnych (ZN 2021, HAS 2021, SMC 2022, NCPE 2023, NICE 2022, CADTH 2021 - pozytywna warunkowa) dotyczących stosowania wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną lub środkiem hipometylującym (głównie azacytydyną) w populacji osób dorosłych:

- z nowo zdiagnozowaną ostrą białaczką szpikową (AML), którzy nie kwalifikują się do intensywnej chemioterapii;
- jako leczenie pierwszego rzutu u dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną AML, którzy nie kwalifikują się do standardowej chemioterapii indukcyjnej;
- z AML w wieku 75 lat i więcej, lub u których występują choroby współistniejące uniemożliwiające zastosowanie intensywnej chemioterapii indukcyjnej.

Ponadto, na stronie NICE odnaleziono informację, że ocena wenetoklaksu w skojarzeniu z azacytydyną w leczeniu AML przed i po alloHSTC u dzieci i dorosłych obecnie jest zawieszona z uwagi na informację przekazaną od wnioskodawcy, że nie procedują już wniosku w tym wskazaniu.

Wpływ na budżet:

W oszacowaniach uwzględniono koszty ocenianej technologii (wenetoklaksu – produkt leczniczy Venclyxto, w skojarzeniu z azacytydyną – produkt leczniczy Azacitidine Accord), koszty komparatorów, koszty podania leków (hospitalizacji pacjentów), koszty diagnostyki i monitorowania leczenia.

Wyniki wariantu podstawowego wpływu na budżet wykazały, że objęcie refundacją terapii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną u pacjentów pediatrycznych w wieku od 3 miesięcy do 18 lat, po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego

ryzyka, spowoduje wzrost wydatków płatnika względem przyjętych komparatorów

- *względem AZA w monoterapii:*
 - *o ok. [REDACTED] / 335 567,610 PLN [REDACTED];*
- *względem opieki terminalnej:*
 - *ok. [REDACTED] / 289 311,270 PLN [REDACTED].*

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna w wąskiej populacji pediatrycznej z AML;*
- *Niewielkie zwiększenie kosztów programu lekowego ze względu na małą liczebność wnioskowanej populacji;*
- *Obiecujące wyniki prowadzonych obecnie badań u dzieci wskazujące na wysoką skuteczność i korzystny profil bezpieczeństwa;*
- *Leczenie wskazane w Konsensusie Ekspertów 2026 i wnioskowane przez Konsultanta Krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej.*

Uwaga Rady

Zdaniem Rady efektywność i bezpieczeństwo leczenia powinny podlegać stałemu monitorowaniu, ze względu na brak rejestracji populacji pediatrycznej.

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), z uwzględnieniem opracowania nr: OTOW.415.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w dotychczasowym opisie programu lekowego B.114. Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową (ICD-10: C92.0) dotyczących zastosowania substancji czynnej: wenetoklaks we wskazaniach pozarejestracyjnych: 1) leczenie 1. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z nowo rozpoznaną ostrą białaczką szpikową, niekwalifikujących się do standardowej chemioterapii indukującej, 2) leczenie od 2. linii wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową, 3) leczenie wenetoklaksem w skojarzeniu z azacytydyną (do podania podskórnego) po przeszczepieniu komórek krwiotwórczych (HSCT) u pediatrycznych pacjentów w wieku od 3 miesięcy z ostrą białaczką szpikową z grupy bardzo wysokiego ryzyka”, data ukończenia: 9 lipca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG., Accord Healthcare S.L.U.)