



DOR.001.41.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 31/2026
w dniu 28 lipca 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 09:59.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Robert Bryzek
4. Anna Czerniecka-Kubicka
5. Małgorzata Dziedziak
6. Marcin Kołakowski
7. Marcin Lipowski
8. Zbigniew Siudak
9. Anna Socha-Banasiak
10. Małgorzata Sznitowska

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.160. „Leczenie pacjentek z ciężką postacią osteoporozy pomenopauzalnej (ICD-10: M80.0)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Beyfortus (nirsevimabum) w ramach program lekowego B.40. „Profilaktyka zakażeń wirusem RS”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Beyfortus (nirsevimabum) we wskazaniu: zapobieganie chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez syncytialny wirus oddechowy (ang. respiratory syncytial virus, RSV) u noworodków i niemowląt urodzonych poza sezonem występowania zakażeń RSV, w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Anzupgo (delgocitinib) we wskazaniu: leczenie przewlekłego wyprysku rąk o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim u dorosłych pacjentów, u których działanie miejscowo stosowanych kortykosteroidów jest niewystarczające lub nieodpowiednie.

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tepmetko (tepotinibum) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.29. „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”.
8. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada 10 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji podsumował dane z raportu w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym dot. ciężkiej postaci osteoporozy pomenopauzalnej.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Artur Bachta.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. i 4. Analitik Agencji podsumował dane dot. leku Beyfortus w dwóch wskazaniach dot. zakażeń RSV.

Głos zabrali: Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Dziedziak, Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Anna Socha-Banasiak.

Rada wysłuchała stanowisk dopuszczonych do udziału w posiedzeniu ekspertów i przedstawiciela pacjentów. Goście odpowiadali także na pytania Rady.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Sznitowska, Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Dziedziak i Marcin Kołakowski.

Ad 3. cd. Projekt stanowiska Rady przygotowały Małgorzata Sznitowska i Anna Socha-Banasiak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym uczestniczyli: Małgorzata Bała, Małgorzata Sznitowska i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. cd. Projekt stanowiska Rady przygotowały Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Sznitowska.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji podsumował raport dot. leku Anzupgo.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Małgorzata Dziedziak i Zbigniew Siudak.

Małgorzata Bała i Marcin Lipowski doprecyzowali treść uchwały.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Posiedzenie opuścił Zbigniew Siudak.

Ad 6. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. leku Tepmetko.

Głos zabrali Marcin Kołakowski i Marcin Lipowski.

Rada wysłuchała stanowisk dopuszczonego do udziału w posiedzeniu eksperta i przedstawiciela pacjentów. Ekspert odpowiadał także na pytania Rady.

W dyskusji Rady uczestniczyli: Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak, Anna Czerniecka-Kubicka, Marcin Lipowski, Marcin Kołakowski i Robert Bryzek.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Marcin Kołakowski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Posiedzenie opuściła Małgorzata Sznitowska.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski, Marcin Lipowski i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 6 głosami „za” i 1 głosem „przeciw” (w głosowaniu nie brała udziału Anna Czerniecka-Kubicka, z uwagi na chwilową nieobecność na posiedzeniu) uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji podsumował dane z raport dot. zmian w programie lekowym z zakresu leczenia chorych na stwardnienie rozsiane.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Robert Bryzek.

Głos zabrali Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:56.



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Opinia Rady Przejrzystości
nr 108/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym
B.160 „Leczenie pacjentek z ciężką postacią osteoporozy
pomenopauzalnej (ICD-10: M80.0)”**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w ramach programu lekowego B.160 „Leczenie pacjentek z ciężką postacią osteoporozy pomenopauzalnej (ICD-10 M80.0)”.

Uzasadnienie

Proponowane zmiany w zapisach programu lekowego B.160 mają charakter jedynie porządkujący i ujednolicający. Zmiany nie powinny wpłynąć na ilość pacjentów kwalifikowanych i leczonych w programie, a tym samym na budżet płatnika publicznego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAP.4121.2.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.160 »Leczenie pacjentek z ciężką postacią osteoporozy pomenopauzalnej (ICD-10 M80.0)«”; data ukończenia: 23 lipca 2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 105/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Beyfortus (nirsewimab) w ramach programu
lekowego: „Profilaktyka zakażeń wirusem RS”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego

- *Beyfortus (nirsewimab), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 50 mg, 1 amp. strzyk., GTIN: 05909991537791;*
- *Beyfortus (nirsewimab), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 100 mg, 1 amp. strzyk., GTIN: 05909991537814,*

w ramach programu lekowego „Profilaktyka zakażeń wirusem RS”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Syncytialny wirus oddechowy (ang. respiratory syncytial virus, RSV) jest główną przyczyną zakażeń dolnych dróg oddechowych u małych dzieci na całym świecie. U większości pacjentów zakażenie RSV przebiega łagodnie, zwykle pod postacią nieżytu górnych dróg oddechowych. Szczególnie narażone na powikłania są dzieci <1. r.ż., u których szacunkowo 40% pierwotnych infekcji kończy się zapaleniem oskrzelików. W 1. roku życia zakażenie RSV przechodzi 60–70% dzieci.

W 2025 r. odnotowano 34 218 zachorowań na RSV u dzieci do drugiego roku życia (zapadalność 6 846,3/100 tys.). Hospitalizacji wymagało 32% chorych. Zachorowalność i umieralność są znacznie większe w podgrupie pacjentów z czynnikami ryzyka, czyli wśród wcześniaków oraz pacjentów z chorobami serca, płuc, neurologicznymi i immunosupresyjnymi. Astma rozwija się u 50-60% dzieci hospitalizowanych z powodu RSV.

Infekcje RSV charakteryzują się sezonową zmiennością w zależności od położenia geograficznego – w klimacie umiarkowanym do większości zakażeń dochodzi zimą i wiosną. W Polsce zakażenia występują głównie w okresie od grudnia do kwietnia, jednak od czasu wprowadzenia działań zapobiegawczych związanych z pandemią COVID-19 sezonowość ta nie jest już tak przewidywalna.

Bierna immunoprofilaktyka zakażeń RSV została już ujęta w PSO na 2025 r. wśród szczepień zalecanych, podobnie jak szczepienia przeciwko RSV dla kobiet w ciąży. Nirsewimab (NIR) jest rekombinowanym, neutralizującym ludzkim przeciwciałem monoklonalnym klasy IgG1κ o długim czasie działania, skierowanym przeciwko konformacji przedfuzyjnej białka F RSV i hamuje kluczowy etap fuzji cząsteczek wirusa z błoną komórkową gospodarza w procesie wnikania wirusa do organizmu, neutralizując wirusa i blokując fuzję komórek.

Beyfortus jest zarejestrowany (2022) w zapobieganiu chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez RSV u: noworodków i niemowląt w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV oraz u dzieci do ukończenia 24. miesiąca życia, które pozostają narażone na ciężką chorobę wywołaną przez RSV w drugim dla nich sezonie występowania zakażeń RSV. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Beyfortus jest węższe niż wskazanie rejestracyjne. Zgodnie z wnioskiem w ramach programu immunizacja nirsewimabem przeprowadzona byłaby u dzieci urodzonych w trakcie sezonu zakażeń wirusem RS, trwającym od 1 września do 30 kwietnia oraz u dzieci w drugim dla nich sezonie RSV, należących do grup zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia, m.in. z dysplazją oskrzelowo-płucną, z mukowiscydozą, hemodynamicznie istotną wadą serca lub rdzeniowym zanikiem mięśni.

Wnioskodawca równoległe złożył wniosek refundacyjny dotyczący objęcia finansowanie ze środków publicznych preparatu Beyfortus w populacji noworodków i niemowląt urodzonych poza sezonem zakażeń RSV, w ramach refundacji aptecznej. Tak więc wskazanie refundacyjne leku Beyfortus zostało przez Wnioskodawcę administracyjnie rozdzielone według kryterium daty urodzenia (przed sezonem RSV albo w trakcie sezonu RSV) i uwzględnione w dwóch, osobnych wnioskach o objęcie refundacją.

Wnioskodawca dokonał tego rozdziału biorąc pod uwagę ograniczenia prawne.

Nirsewimab jest przeciwciałem monoklonalnym przeznaczonym do uodpornienia biernego i nie może być zakwalifikowany jako szczepienie.

Dowody naukowe

Jako technologie alternatywne dla wnioskowanej technologii wskazano: brak immunizacji RSV, paliwizumab (PAL) oraz szczepionkę Abrysvo (podawaną kobietom w ciąży). Do głównej analizy klinicznej Wnioskodawcy włączono 4 randomizowane próby kliniczne. Nie zidentyfikowano badań z randomizacją bezpośrednio porównujących nirsewimab ze szczepionką Abrysvo.

Przeprowadzony uzupełniający przegląd literatury, pozwolił na identyfikację badania MATISSE, w którym porównano efektywność szczepionki Abrysvo (podawanej kobietom w ciąży) z placebo.

Badania eksperymentalne włączone do głównej analizy klinicznej nie były zaprojektowane do odrębnej oceny dzieci urodzonych w sezonie i poza sezonem RSV. Nie przedstawiono też wyników skuteczności i bezpieczeństwa według daty urodzenia względem sezonu.

Wykazano, że NIR w porównaniu z brakiem profilaktyki, przyczynia się do statystycznie istotnej redukcji: związanego z RSV ryzyka zakażenia dolnych dróg oddechowych (LRTI) (Griffin 2020, MELODY, HARMONIE). Zdarzenia raportowano u 1% dzieci w grupie nirsewimabu oraz u 6% dzieci w grupie placebo, co odpowiadało względnej redukcji ryzyka (RRR) o 79,0% (NNT 21). W porównaniu do placebo nirsewimab istotnie zmniejszał ryzyko wystąpienia ciężkiego przebiegu LRTI związanego z RSV (RRR 86,2%, NNT 53).

Ochrona przed hospitalizacją z powodu infekcji dolnych dróg oddechowych związanych z zakażeniem RSV, którą zapewnia nirsewimab, pozostaje silna po zakończeniu pierwszego sezonu zakażeń RSV, nawet do 180 dni, a skuteczność utrzymuje się na poziomie ponad ~83%, natomiast w przypadku hospitalizacji z powodu LRTI związanej z RSV, o bardzo ciężkim przebiegu na ponad 75% (badanie HARMONIE).

Wykazano brak statystycznie istotnych różnic pomiędzy profilaktyką NIR i PAL w odniesieniu do: ryzyka LRTI wymagającej interwencji medycznej związanej z RSV oraz ryzyka hospitalizacji z powodu LRTI związanej z RSV w sezonie I, zarówno w populacji ogólnej, jak i w podgrupach dzieci urodzonych ≤ 35 tygodnia ciąży oraz dzieci z wrodzoną chorobą serca lub przewlekłą chorobą płuc (MEDLEY).

Analiza wyników badań randomizowanych dla NIR vs. Abrysvo (w populacji kobiet w ciąży) wskazuje, że zarówno oceniana interwencja jak i komparator stanowią skuteczną względem braku profilaktyki (placebo) opcję zapobiegania chorobom dróg oddechowych oraz hospitalizacjom związanym z RSV.

Profil bezpieczeństwa nirsewimabu jest porównywalny z placebo (Griffin 2020 oraz MELODY). NIR istotnie statystycznie zwiększał częstość zdarzeń niepożądanych w porównaniu do braku profilaktyki w zakresie AEs ogółem (RR = 1,12; 95% CI: 1,05; 1,19; NNH = 25; 95% CI: 16; 56) oraz AEs związanych z leczeniem (RR = 173,22; 95% CI: 10,75; 2790,56, NNH = 46, 95% CI: 38;59), jednak nie powodował istotnego wzrostu ryzyka SAE, AEs specjalnego zainteresowania ani zgonów (HARMONIE). W badaniu MEDLEY nirsewimab wykazał profil bezpieczeństwa porównywalny z paliwizumabem. W jednoramiennym badaniu MUSIC profil bezpieczeństwa był akceptowalny, choć częstość TEAE i TESAЕ była wyższa w grupie otrzymującej dawkę

nirsewimabu 200 mg niż dawki 50 lub 100 mg (odpowiednio 75% vs 86,5% oraz 25% vs 38,5%).

Dane z rzeczywistej praktyki klinicznej w Hiszpanii (badanie NIRSE-GAL) wskazują na zmniejszenie liczby pierwszych hospitalizacji z powodu zakażeń dolnych dróg oddechowych związanych z RSV po wprowadzeniu immunizacji nirsewimabem. Największą redukcję względną obserwowano w pierwszym sezonie RSV, zarówno u dzieci urodzonych w sezonie, jak i poza sezonem, gdzie częstość hospitalizacji po wdrożeniu nirsewimabu była niższa odpowiednio o 87,7% i 84,2% niż oczekiwana częstość oszacowana na podstawie historycznych sezonów RSV. W drugim sezonie RSV efekt był mniej wyraźny.

Wytyczne kliniczne

Zgodnie z wytycznymi PTW 2025 nirsewimab jest zalecany wszystkim niemowlętom w pierwszym sezonie RSV, szczególnie dzieciom < 6. miesiąca życia oraz z grup wysokiego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia. Podanie nirsewimabu zaleca się tuż przed sezonem RSV lub bezpośrednio po urodzeniu, niezależnie od miesiąca urodzenia dziecka. Dzieci z grup ryzyka powinny otrzymać nirsewimab również w drugim sezonie RSV, niezależnie od wcześniejszej profilaktyki lub szczepienia matki. Rekomendacje PTP 2024 zalecają nirsewimab dla wszystkich noworodków i niemowląt do 12. miesiąca życia. Noworodki urodzone w sezonie RSV (październik–marzec) powinny otrzymać nirsewimab w pierwszym miesiącu życia. Druga dawka nirsewimabu jest zalecana u dzieci < 24. miesiąca życia rozpoczynających drugi sezon RSV, jeśli należą do grup wysokiego ryzyka ciężkiego przebiegu choroby.

WHO (2025) zaleca wdrożenie ochrony przed RSV dla wszystkich niemowląt rozpoczynających pierwszy sezon zakażeń, niezależnie od obecności czynników ryzyka (jeśli kraj wdroży strategię powszechną). Rekomendowane są dwie równorzędne strategie: szczepienie kobiet w ciąży lub podanie nirsewimabu niemowlętom. CDC (2025) podkreśla, że immunizacja powinna być zaplanowana tak, aby dziecko było chronione przed początkiem sezonu RSV.

Wg ECDC obecnie brakuje wystarczających danych, aby jednoznacznie stwierdzić, czy sezonowe podawanie nirsewimabu jest lepsze od programu całorocznego.

Główny Inspektor Sanitarny (2026) zaleca bierne uodpornienie przeciw RSV noworodków, niemowląt oraz dzieci do dwóch lat poprzez zastosowane przeciwciał monoklonalnych. Zalecane jest także szczepienie kobiet w ciąży po ukończeniu 27. do 36. tygodnia ciąży.

Paliwizumab jest obecnie rozważany głównie w wybranych sytuacjach klinicznych lub gdy nirsewimab jest niedostępny.

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca nie zaproponował mechanizmu dzielenia ryzyka.

Stosowanie nirsewimabu w miejsce braku immunizacji RSV jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania nirsewimab vs brak immunizacji RSV, z perspektywy NFZ wyniósł 27,06 tys. zł/QALY, natomiast z perspektywy wspólnej: 26,95 tys. zł/QALY. Wyniki CMA wskazują, iż stosowanie nirsewimabu w miejsce paliwizumabu,

Oszacowana przez wnioskodawcę wartość progowa dla porównania NIR vs brak immunizacji RSV, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, jest równy wysokości progu, zarówno z perspektywy NFZ i wspólnej jest [REDAKTOWANO] od wnioskowanych cen zbytu netto. Ograniczeniem analizy ekonomicznej był brak przejrzystości w opisach w AE wnioskodawcy oraz brak możliwości prześledzenia części oszacowań w modelu elektronicznym.

Wnioskodawca oszacował, że nirsewimab byłby stosowany u ok. [REDAKTOWANO] pacjentów rocznie. Oszacowania Wnioskodawcy wykazały, że podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu nirsewimabu w profilaktyce RSV będzie związane z dodatkowymi wydatkami z perspektywy płatnika publicznego, które wyniosą od 64,62 mln PLN w drugim do 57,45 mln PLN w piątym roku (sezonie) analizy.

Analitycy Agencji przeprowadzili obliczenia własne uwzględniające [REDAKTOWANO] Wyniki dla wyodrębnionej populacji wykazują [REDAKTOWANO] dla płatnika publicznego. [REDAKTOWANO]

Główne źródła niepewności wyników analizy wpływu na budżet dotyczą źródłowych danych przyjętych odsetków hospitalizacji z powodu RSV i heterogeniczności populacji docelowej.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje refundacyjne: kanadyjską (CDA-AMC 2025), francuską (HAS 2025) oraz niemiecką (G-BA 2025). Rekomendacje pozytywne, francuskiej HAS (2025) i kanadyjskiej CDA-AMC (2025) potwierdzają skuteczność nirsewimabu w zapobieganiu RSV u niemowląt. Podkreślają jednak brak wystarczających dowodów do oceny nirsewimabu względem paliwizumabu.

W przypadku ograniczonego dostępu do nirsewimabu kanadyjskie CADTH zaleciło priorytetowe stosowanie leku u dzieci z najwyższym ryzykiem. HAS podkreśliło wygodę jednorazowego podania zapewniającego ochronę przez cały sezon RSV. Niemieckie G-BA (2025) nie potwierdziło dodatkowej korzyści nirsewimabu w grupach wysokiego ryzyka objętych już profilaktyką wtórną, natomiast stwierdziło znaczną dodatkową korzyść u zdrowych noworodków i niemowląt niekwalifikujących się do profilaktyki przeciwciałami anti-RSV.

W przeprowadzonym przez Agencję przeglądzie dotyczącym organizacji i finansowania immunizacji nirsewimabem w krajach europejskich nie zidentyfikowano rozwiązań polegających na różnicowaniu trybu finansowania nirsewimabu w zależności od momentu urodzenia dziecka względem sezonu RSV, tj. odrębnie dla dzieci urodzonych w sezonie oraz poza sezonem zakażeń RSV.

Główne argumenty decyzji:

- Udowodniona skuteczność kliniczna;
- Profilaktyka wnioskowanym preparatem zgodna z aktualnymi wytycznymi;
- Wysoki stosunek korzyści do kosztów i akceptowalny koszt dla budżetu;
- Uproszczony schemat dawkowania.

Uwagi Rady:

- Charakter interwencji i kwalifikacja do programu odbiegają od standardowego modelu programu lekowego;
- Proponowany podział populacji skutkuje finansowaniem tej samej substancji czynnej w ramach dwóch odrębnych kategorii refundacyjnych;
- Pacjenci z dodatkowymi ryzykami urodzeni poza sezonem zakażeń RSV nie mogą zostać włączeni do programu;
- Podjęte powinny być działania legislacyjne w celu wprowadzenia immunoprofilaktyki innej niż szczepienia do PSO.

Połączenie refundacji aptecznej i programu lekowego nie stanowi optymalnego mechanizmu finansowania nirsewimabu w szeroko zdefiniowanej populacji i zasadne jest rozważenie udzielanie świadczenia dla całej populacji w ramach programu polityki zdrowotnej i PSO.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.5.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Beyfortus (nirsewimab) w ramach programu lekowego: »Profilaktyka zakażeń wirusem RS«”; data ukończenia: 16 lipca 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Sanofi Sp. z o.o.).

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (AstraZeneca AB oraz Pfizer Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB oraz Pfizer 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) 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: (AstraZeneca AB oraz Pfizer Polska Sp. z o.o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
Nr 106/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Beyfortus (nirsewimab) we wskazaniu:
zapobieganie chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez
syncytialny wirus oddechowy u noworodków i niemowląt urodzonych
poza sezonem występowania zakażeń RSV

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego

- *Beyfortus (nirsewimab), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 50 mg, 1 amp. strzyk., GTIN: 05909991537791;*
- *Beyfortus (nirsewimab), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 100 mg, 1 amp. strzyk., GTIN: 05909991537814,*

we wskazaniu: zapobieganie chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez syncytialny wirus oddechowy (ang. respiratory syncytial virus, RSV) u noworodków i niemowląt urodzonych poza sezonem występowania zakażeń RSV (zdefiniowanym w programie lekowym B.40), w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 50% pod warunkiem zaproponowania instrumentu dzielenia ryzyka oraz uwzględnieniu uwag Rady Przejrzystości.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Syncytialny wirus oddechowy (ang. respiratory syncytial virus, RSV) jest główną przyczyną zakażeń dolnych dróg oddechowych u małych dzieci na całym świecie. Szczególnie narażone na powikłania są dzieci <1. r.ż., u których szacunkowo 40% pierwotnych infekcji kończy się zapaleniem oskrzelików. W 1. roku życia zakażenie RSV przechodzi 60–70% dzieci.

W 2025 r. odnotowano 34 218 zachorowań na RSV u dzieci do drugiego roku życia (zapadalność 6 846,3/100 tys.). Hospitalizacji wymagało 32% chorych. Zachorowalność i umieralność są znacznie większe w podgrupie pacjentów z czynnikami ryzyka, czyli wśród wcześniaków oraz pacjentów z chorobami serca, płuc, neurologicznymi i immunosupresyjnymi. Astma rozwija się u 50-60% dzieci hospitalizowanych z powodu RSV.

W Polsce zakażenia RSV występują głównie w okresie od grudnia do kwietnia, jednak od czasu wprowadzenia działań zapobiegawczych związanych z pandemią COVID-19 sezonowość ta nie jest już tak przewidywalna. Bierna immunoprofilaktyka zakażeń RSV została już ujęta w PSO na 2025 r. wśród szczepień zalecanych, podobnie jak szczepienia przeciwko RSV dla kobiet w ciąży. Nirsewimab (NIR) jest rekombinowanym, neutralizującym ludzkim przeciwciałem monoklonalnym klasy IgG1κ o długim czasie działania, skierowanym przeciwko konformacji przedfuzyjnej białka F RSV i hamuje kluczowy etap fuzji cząsteczek wirusa z błoną komórkową gospodarza w procesie wnikania wirusa do organizmu, neutralizując wirusa i blokując fuzję komórek.

Beyfortus jest zarejestrowany (2022) w zapobieganiu chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez RSV u: noworodków i niemowląt w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV oraz u dzieci do ukończenia 24. miesiąca życia, które pozostają narażone na ciężką chorobę wywołaną przez RSV w drugim dla nich sezonie występowania zakażeń RSV. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Beyfortus jest węższe niż wskazanie rejestracyjne. Zgodnie z wnioskiem refundacja dotyczy objęcia finansowaniem ze środków publicznych preparatu Beyfortus w populacji noworodków i niemowląt urodzonych poza sezonem zakażeń RSV, w ramach refundacji aptecznej. Jednocześnie Wnioskodawca wystąpił o refundację preparatu w ramach programu lekowego - immunizacja nirsewimabem przeprowadzona byłaby u dzieci urodzonych w trakcie sezonu zakażeń wirusem RS, trwającym od 1 września do 30 kwietnia oraz u dzieci w drugim dla nich sezonie RSV, należących do grup zwiększonego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia. W związku z powyższym wskazanie refundacyjne leku Beyfortus zostało przez Wnioskodawcę administracyjnie rozdzielone według kryterium daty urodzenia (przed sezonem RSV albo w trakcie sezonu RSV) i uwzględnione w dwóch, osobnych wnioskach o objęcie refundacją.

Wnioskodawca podaje, że dokonał tego rozdziału biorąc pod uwagę ograniczenia prawne.

Nirsewimab jest przeciwciałem monoklonalnym przeznaczonym do uodpornienia biernego i nie może być zakwalifikowany jako szczepienie.

Dowody naukowe

W oparciu o wyniki badań Griffin 2020 i MELODY, wykazano, że NIR w porównaniu z PLC, przyczynia się do statystycznie istotnej redukcji: ryzyka zakażenia dolnych dróg oddechowych (LRTI) wymagającego interwencji medycznej związanego z RSV, ryzyka LRTI wymagającej interwencji medycznej

związanej z RSV, o bardzo ciężkim przebiegu i ryzyka hospitalizacji z powodu LRTI związanej z RSV.

Wykazano, że NIR w porównaniu z brakiem profilaktyki (badanie HARMONIE), przyczynia się do statystycznie istotnej redukcji ryzyka hospitalizacji z powodu: LRTI związanej z RSV, LRTI związanej z RSV i z saturacją <90% oraz tlenoterapią (LRTI RSV o bardzo ciężkim przebiegu). Ochrona przed hospitalizacją z powodu infekcji dolnych dróg oddechowych związanych z zakażeniem RSV, którą zapewnia nirsewimab, pozostaje silna po zakończeniu pierwszego sezonu zakażeń RSV, nawet do 180 dni, a skuteczność utrzymuje się na poziomie ponad ~83%, natomiast w przypadku hospitalizacji z powodu LRTI związanej z RSV, o bardzo ciężkim przebiegu na ponad 75%.

W oparciu o wyniki badania MEDLEY, wykazano brak statystycznie istotnych różnic pomiędzy profilaktyką NIR i PAL w odniesieniu do: ryzyka LRTI wymagającej interwencji medycznej związanej z RSV oraz ryzyka hospitalizacji z powodu LRTI związanej z RSV w sezonie 1, zarówno w populacji ogólnej, jak i w podgrupach dzieci urodzonych ≤ 35 tygodnia ciąży oraz dzieci z wrodzoną chorobą serca (CHD) lub przewlekłą chorobą płuc (CLD).

Przypadki potwierdzonego zakażenia wirusem RSV zaobserwowano jedynie u 1,9% pacjentów, którzy otrzymali NIR i u 3,2% dzieci immunizowanych paliwizumabem w sezonie 1. Nie wykazano statystycznie znamiennych różnic pomiędzy grupami. W każdej z dwu rozpatrywanych grup sezonu 2 odnotowano pojedynczy przypadek zakażenia RSV, co stanowiło 0,5% uczestników w grupie nirsewimab/nirsewimab, i 2,4% pacjentów w grupie paliwizumab/paliwizumab (brak statystycznie znamiennych różnic pomiędzy grupami).

Analiza wyników badań randomizowanych dla NIR vs. Abrysvo wskazuje, że zarówno oceniana interwencja jak i komparator stanowią skuteczną względem braku profilaktyki (placebo) opcję zapobiegania chorobom dróg oddechowych spowodowanym zakażeniem RSV oraz hospitalizacjom związanym z RSV. Należy uwzględnić liczne heterogenności metodologiczne i kliniczne pomiędzy badaniami Griffin 2020/MELODY dla nirsewimabu oraz MATISSE dla Abrysvo.

Do analizy bezpieczeństwa włączono 4 randomizowane badania kliniczne (Griffin 2020, MELODY, HARMONIE, MEDLEY) oraz jedno badanie jednoramienne (MUSIC). Wyniki badań Griffin 2020 oraz MELODY spójnie wskazują, że profil bezpieczeństwa nirsewimabu jest porównywalny z placebo. Nie wykazano IS zwiększenia częstości zdarzeń niepożądanych ogółem (NIR vs PLC odpowiednio 86% vs 85%) ani zdarzeń związanych z leczeniem (po 1%), a w badaniu Griffin 2020 odnotowano istotne statystycznie zmniejszenie ryzyka SAE (RR = 0,71; 95% CI: 0,55; 0,90; NNT = 28; 95% CI: 16; 105). Nie stwierdzono zwiększonego ryzyka zgonu związanego ze stosowaniem nirsewimabu w porównaniu do placebo. Wyniki badania HARMONIE wskazują, iż nirsewimab istotnie statystycznie

zwiększał częstość zdarzeń niepożądanych w porównaniu do braku profilaktyki w zakresie AE ogółem (RR = 1,12; 95% CI: 1,05; 1,19; NNH = 25; 95% CI: 16; 56), AE ogółem wymagających interwencji medycznej (RR = 1,08; 95% CI: 1,0; 1,15; NNH = 47; 95% CI: 24; 777) oraz AE związanych z leczeniem (RR = 173,22; 95% CI: 10,75; 2790,56, NNH = 46, 95% CI: 38;59), jednak nie powodował istotnego wzrostu ryzyka SAE, AE specjalnego zainteresowania ani zgonów. W badaniu MEDLEY nirsewimab wykazał profil bezpieczeństwa porównywalny z paliwizumabem. Nie stwierdzono zwiększonego ryzyka zdarzeń niepożądanych, ciężkich zdarzeń niepożądanych, zgonów związanych z leczeniem ani nowych chorób przewlekłych. W jednoramiennym badaniu MUSIC profil bezpieczeństwa był akceptowalny, choć częstość TEAE i TESAE była wyższa w grupie otrzymującej dawkę nirsewimabu 200 mg niż dawki 50 lub 100 mg (odpowiednio 75% vs 86,5% oraz 25% vs 38,5%).

Do najczęściej raportowanych zdarzeń niepożądanych w badaniach należały (dla wieku ciążowego 29-35 tyg.) infekcje i infestacje (77%), choroba górnych dróg oddechowych (41%) oraz zaburzenia żołądkowo-jelitowe (27%). Dla wieku ciążowego ≥ 35 tyg. najczęściej raportowano chorobę górnych dróg oddechowych 1. stopnia (25%) oraz zapalenie jamy gardłowo nosowej (19%).

Wytyczne kliniczne:

Zgodnie z zaleceniami PTW 2025 nirsewimab jest zalecany wszystkim niemowlętom w pierwszym sezonie RSV, szczególnie dzieciom < 6. miesiąca życia oraz z grup wysokiego ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia. Nirsewimab może być podany mimo szczepienia matki, jeśli dziecko należy do grupy bardzo wysokiego ryzyka (zdiagnozowane m.in. niedobory odporności, przewlekłe choroby płuc, mukowiscydoza, SMA) lub szczepienie matki nie zapewniło pełnej ochrony (np. wykonano je < 14 dni przed porodem). Podanie nirsewimabu zaleca się tuż przed sezonem RSV lub bezpośrednio po urodzeniu, zależnie od miesiąca urodzenia dziecka. Dzieci z grup ryzyka powinny otrzymać nirsewimab również w drugim sezonie RSV, niezależnie od wcześniejszej profilaktyki lub szczepienia matki. Przebyte zakażenie RSV ani kontakt z wirusem nie stanowią przeciwwskazania do podania nirsewimabu. Preparat można podawać jednocześnie z rutynowymi szczepieniami pediatrycznymi lub w dowolnym odstępie od nich. Nirsewimab może być stosowany u dzieci, które otrzymały niepełny schemat paliwizumabu. Podanie leku zaleca się w poradni POZ lub w innym punkcie szczepień (dotyczy też noworodków). Dokument PTW 2025 zawiera zalecenie szczepienia kobiet w ciąży szczepionką RSVpreF, brak jest natomiast bezpośrednich zaleceń dot. podania paliwizumabu (jedynie informacja o istnieniu takiego preparatu oraz o programie lekowym B.40 dla dzieci z grupy ryzyka).

Rekomendacje PTP 2024 zalecają nirsewimab dla wszystkich noworodków i niemowląt do 12. miesiąca życia. Noworodki urodzone w sezonie RSV

(październik–marzec) powinny otrzymać nirsewimab w pierwszym miesiącu życia, najlepiej jeszcze podczas pobytu w oddziale noworodkowym. Niemowlęta urodzone poza sezonem RSV (kwiecień–wrzesień) powinny dostać przeciwciało przed rozpoczęciem kolejnego sezonu zakażeń, zwykle między 2. a 6. miesiącem życia. Druga dawka nirsewimabu jest zalecana u dzieci < 24. miesiąca życia rozpoczynających drugi sezon RSV, jeśli należą do grup wysokiego ryzyka ciężkiego przebiegu choroby (np. wcześniaki urodzone przed 33. tygodniem ciąży oraz dzieci z przewlekłymi chorobami). Wytyczne rekomendują szczepienie kobiet ciężarnych oraz zastosowanie paliwizumabu u wszystkich niemowląt kwalifikujących się do podania leku według aktualnych kryteriów zawartych w programie lekowym B.40.

WHO w swoim stanowisku (WHO 2025) zaleca wdrożenie ochrony przed RSV dla wszystkich niemowląt rozpoczynających pierwszy sezon zakażeń, niezależnie od obecności czynników ryzyka (jeśli kraj wdroży strategię powszechną). Rekomendowane są dwie równorzędne strategie: szczepienie kobiet w ciąży lub podanie nirsewimabu niemowlętom. Głównym celem jest zapobieganie hospitalizacjom i zgonom z powodu RSV u dzieci w pierwszych 6 miesiącach życia.

ECDC w opinii naukowej dot. ochrony niemowląt przed chorobą wywołaną przez RSV uznaje, że zarówno nirsewimab jak i szczepienie kobiet w ciąży są skutecznymi i bezpiecznymi metodami ochrony.

CDC 2025 opisuje dwie równorzędne strategie ochrony niemowląt przed ciężkim przebiegiem zakażenia RSV: szczepienie kobiet w ciąży oraz podanie przeciwciała monoklonalnego niemowlęciu. W większości przypadków dziecko powinno otrzymać jedną z tych form ochrony, nie obie. CDC podkreśla, że immunizacja powinna być zaplanowana tak, aby dziecko było chronione przed początkiem sezonu RSV. Niemowlęta niechronione przez szczepienie matki powinny otrzymać przeciwciało tuż przed sezonem RSV lub w ciągu tygodnia od urodzenia, jeśli urodziły się w sezonie.

Dokumentem uzupełniającym powyższe wytyczne jest Komunikat Głównego Inspektora Sanitarnego w sprawie Programu Szczepień Ochronnych na rok 2026, w którym zaleca się bierne uodpornienie przeciw RSV noworodków, niemowląt oraz dzieci do dwóch lat poprzez zastosowane przeciwciała monoklonalnych. Zalecane jest także szczepienie kobiet w ciąży po ukończeniu 27. do 36. tygodnia ciąży.

Problem ekonomiczny

Wyniki CUA wykazały, że stosowanie nirsewimabu w miejsce braku immunizacji RSV jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania nirsewimab vs brak immunizacji RSV, z perspektywy NFZ wyniósł 54,82 tys. zł/QALY, natomiast z perspektywy wspólnej: 125,77 tys. zł/QALY. Natomiast wyniki CMA wskazują, iż stosowanie nirsewimabu w miejsce paliwizumabu, [redacted]

Wnioskodawca dodatkowo przedstawił oszacowania AE dla populacji łącznej, tj. obejmującej zarówno pacjentów otrzymujących nirsewimab w ramach refundacji aptecznej i pacjentów kwalifikujących się do stosowania NIR w ramach programu lekowego B.40. W populacji łącznej oszacowany ICUR dla porównania nirsewimab vs brak immunizacji RSV, z perspektywy NFZ wyniósł 30,59 tys. zł/QALY, natomiast z perspektywy wspólnej: 39,53 tys. zł/QALY. Natomiast stosowanie nirsewimabu w miejsce paliwizumabu,

Przeprowadzone przez Wnioskodawcę oszacowania wykazały, że podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu nirsewimabu w profilaktyce RSV będzie związane z oszczędnościami płatnika publicznego, które wyniosą od 6,87 mln PLN w pierwszym do 6,37 mln PLN w piątym roku (sezonie) analizy.

Biorąc pod uwagę perspektywę wspólną - przeprowadzone oszacowania wykazały, że podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu nirsewimabu w profilaktyce RSV będzie związane z dodatkowymi wydatkami, które wyniosą od 7,16 mln PLN w pierwszym do 6,28 mln PLN w piątym roku (sezonie) analizy.

Rekomendacje refundacyjne

Rekomendacje pozytywne, HAS i CDA-AMC potwierdzają skuteczność nirsewimabu w zapobieganiu RSV u niemowląt, zwłaszcza w porównaniu z brakiem profilaktyki. Podkreślają jednak brak wystarczających dowodów do oceny nirsewimabu względem paliwizumabu (w populacji niemowląt z czynnikami ryzyka). W przypadku ograniczonego dostępu do nirsewimabu CADTH zaleciło priorytetowe stosowanie leku u dzieci z najwyższym ryzykiem (wcześniaki, przewlekła choroba płuc, wady serca, niedobory odporności). HAS podkreśliło wygodę jednorazowego podania zapewniającego ochronę przez cały sezon RSV. G-BA nie potwierdziło dodatkowej korzyści nirsewimabu w grupach wysokiego ryzyka objętych już profilaktyką wtórną, natomiast stwierdziło znaczną dodatkową korzyść u zdrowych noworodków i niemowląt niekwalifikujących się do profilaktyki przeciwciałami anty-RSV zgodnie z obowiązującymi zaleceniami.

Główne argumenty decyzji:

- Udowodniona skuteczność kliniczna;
- Profilaktyka wnioskowanym preparatem zgodna z aktualnymi wytycznymi;
- Wysoki stosunek korzyści do kosztów i akceptowalny koszt dla budżetu;
- Uproszczony schemat dawkowania.

Uwagi Rady:

- *Proponowany podział populacji skutkuje finansowaniem tej samej substancji czynnej w ramach dwóch odrębnych kategorii refundacyjnych;*
- *Podjęte powinny być działania legislacyjne w celu wprowadzenia immunoprofilaktyki innej niż szczepienia do PSO.*

Połączenie refundacji aptecznej i programu lekowego nie stanowi optymalnego mechanizmu finansowania nirsewimabu w szeroko zdefiniowanej populacji i zasadne jest rozważenie udzielania świadczenia dla całej populacji w ramach programu polityki zdrowotnej i PSO.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4130.6.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Beyfortus (nirsewimab) we wskazaniu: zapobieganie chorobie dolnych dróg oddechowych wywołanej przez syncytialny wirus oddechowy (ang. respiratory syncytial virus, RSV) u noworodków i niemowląt urodzonych poza sezonem występowania zakażeń RSV (zdefiniowanym w programie lekowym B.40), w pierwszym dla nich sezonie występowania zakażeń RSV”; data ukończenia: 16 lipca 026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Sanofi Sp. z o.o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 107/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Anzupgo (delgocytynib) we wskazaniu: leczenie przewlekłego wyprysku rąk o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim u dorosłych pacjentów, u których działanie miejscowo stosowanych kortykosteroidów jest niewystarczające lub nieodpowiednie

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Anzupgo (delgocytynib), krem, 20 mg/g, 1 tuba 15 g., GTIN: 05909991584474, we wskazaniu: w leczeniu przewlekłego wyprysku rąk o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim u dorosłych pacjentów, u których działanie miejscowo stosowanych kortykosteroidów jest niewystarczające lub nieodpowiednie na zaproponowanych warunkach.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Delgocytynib jest nieselektywnym inhibitorem kinaz janusowych (JAK), ukierunkowanym na działanie wszystkich czterech członków rodziny enzymów JAK, czyli JAK1, JAK2, JAK3 i kinazy tyrozynowej 2 (TYK2) w sposób zależny od stężenia. W komórkach ludzkich hamowanie szlaku JAK-STAT przez delgocytynib powoduje osłabienie sygnalizacji kilku cytokin prozapalnych [w tym interleukin (IL)-2, IL-4, IL-6, IL-13, IL-21, IL-23, czynnika stymulującego tworzenie kolonii granulocytów i makrofagów (GM-CSF) i interferonu (IFN)-α] i tym samym osłabiając odpowiedź odpornościową i zapalną w komórkach związanych z procesem patologicznym w przewlekłym wyprysku rąk (CHE). Data wydania pierwszego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu: 19.09.2024 r.

Wnioskodawca nie zaproponował mechanizmu dzielenia ryzyka.

Wyprysk rąk jest heterogenną, zmienną przewlekłą chorobą zapalną skóry rąk i nadgarstków o szerokim zakresie etiologii, która w dużej mierze wynika z wieloczynnikowej patogenezы.

Istnieją trzy główne klasyfikacje etiologiczne wyprysku rąk:

- kontaktowe zapalenie skóry z podrażnienia (ang. irritant contact dermatitis, ICD),*
- alergiczne kontaktowe zapalenie skóry (ang. allergic contact dermatitis, ACD),*
- atopowy wyprysk rąk, stanowiący ponad 50% przypadków.*

Przewlekły wyprysk rąk odnosi się do procesu zapalnego trwającego ponad 3 miesiące lub nawracającego 2 lub więcej razy w ciągu roku. W większości przypadków występuje nadmierne łuszczenie się i pękanie naskórka. Nadmierne rogowacenie występuje w przewlekłym kontaktowym i alergicznym zapaleniu skóry (AZS) oraz w przebiegu wyprysku hiperkeratotycznego i innych przewlekłych przypadkach.

Szacuje się, że wyprysk rąk dotyczy co najmniej 9,1% populacji ogólnej, przy częstości występowania wynoszącej 6,4% u mężczyzn i 10,5% u kobiet, uwzględniając zarówno postacie łagodne, jak i ciężkie. Najnowsze dane epidemiologiczne wskazują, że ryzyko wystąpienia choroby w ciągu życia może sięgać 15%.

Wytyczne kliniczne w ramach leczenia przewlekłego CHE wskazują na stosowanie: miejscowych glikokortykosteroidów, inhibitorów kalcyneuryny, pochodnych witaminy D3 oraz nowoczesnych niesteroidowych terapii ukierunkowanych, w tym delgocytynibu, a także fototerapii, głównie PUVA i wąskopasmowego UVB oraz alitrytenoiny. W Polsce w ocenianym wskazaniu stosuje się: miejscowe GKS, miejscowe inhibitory kalcyneuryny, acytretynę, metotreksat, cyklosporynę, PUVA, UVB, mykofenolan mofetylu, azatioprynę, emolienty oraz ogólne GKS.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego włączono:

- 2 badania RCT: DELTA 1 (NCT04871711) oraz DELTA 2 (NCT04872101) opisanych w publikacjach: Bissonnette 2024 oraz Bauer 2025 i abstraktach konferencyjnych: Bauer 2024, Schuttelaar 2024, dotyczące oceny skuteczności i bezpieczeństwa delgocytynibu w leczeniu przewlekłego wyprysku rąk w porównaniu z najlepszą terapią wspomagającą;
- 1 badanie jednoramienne DELTA 3 (NCT04949841, Gooderham 2025) oceniające skuteczność i bezpieczeństwo delgocytynibu, mające charakter badania przedłużonego.

Ponadto do analizy klinicznej włączono również 4 badania wtórne: Kow 2025, Gupta 2025, Moraes-Souza 2026 oraz Awad 2026, jak również dwa badania RWE: Suehiro 2022 oraz Weißinger 2026.

Zgodnie z wynikami badań DELTA 1, DELTA 2 oraz metaanalizy tych dwóch badań, zastosowanie DEL związane jest z IS wyższym odsetkiem pacjentów osiągających sukces terapeutyczny (tj. uzyskanie wyniku 0 (brak zmian) lub 1 (niemal całkowite ustąpienie zmian) w skali IGA-CHE przy jednoczesnej poprawie o co najmniej 2 stopnie względem wartości wyjściowej w 16. tygodniu leczenia) w porównaniu z BSC w czasie okresu obserwacji wynoszącym 16 tygodni (Delta 1: 19,7% vs 9,9%, Delta 2: 29,1% vs 6,9%, metaanaliza: 24,3% vs 8,4%).

Wyniki badań Delta 1 oraz Delta 2 wskazują, że zastosowanie DEL w porównaniu z BSC związane jest z IS większą poprawą jakości życia pacjentów w czasie 16 tygodniowego okresu obserwacji (Delta 1: MD= -3,6 (95%CI: -4,7; -2,6); Delta 2: MD= -3,9 (95%CI: -5,0; -2,8); metaanaliza: MD= -3,78 (95%CI: 4,53; -3,04)).

Na podstawie wyników badania Delta 3 w grupie pacjentów stosujących DEL, którzy wcześniej otrzymywali DEL odsetek osób osiągających sukces terapeutyczny wg skali IGA-CHE w 36 tygodniu obserwacji był zbliżony do odsetka w grupie pacjentów, którzy wcześniej otrzymywali BSC i wynosił odpowiednio 30,0% dla grupy DEL i 29,5% w grupie wcześniejszego BSC.

Badania wtórne:

- Kow 2025 (4 RCT) wykazał, że DEL istotnie zwiększa prawdopodobieństwo osiągnięcia sukcesu terapeutycznego po 8 i 16 tygodniach leczenia, bez zwiększania ryzyka zdarzeń niepożądanych. Autorzy podkreślili jednak brak danych długoterminowych.
- Gupta 2025 (5 RCT) wskazał, że DEL należał do najskuteczniejszych analizowanych terapii pod względem redukcji nasilenia choroby ocenianej za pomocą HECSI. Uzyskano również korzystne wyniki w porównaniach pośrednich względem PUVA.
- Moraes-Souza 2026 (3 RCT) potwierdził istotnie większy odsetek sukcesów terapeutycznych w wyniku zastosowania DEL oraz poprawę objawów zgłaszanych przez pacjentów (świąd i ból) przy zachowaniu korzystnego profilu bezpieczeństwa.
- Awad 2026 (3 RCT) wykazał znaczącą poprawę wyników HECSI i IGA-CHE w wyniku stosowania DEL przy braku różnic w ogólnej częstości zdarzeń niepożądanych. Zaobserwowano również rzadsze przerywanie leczenia z powodu działań niepożądanych.

Najważniejszym ograniczeniem ww. badań wtórnych jest krótki okres obserwacji pacjentów, który w większości badań nie przekraczał 16 tygodni, co utrudnia ocenę długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa DEL w przewlekłym wyprysku rąk. Autorzy zwracali również uwagę na niewielką liczbę dostępnych badań randomizowanych oraz umiarkowaną heterogeniczność populacji, wynikającą m.in. z różnic w wyjściowym nasileniu choroby i odsetku poszczególnych podtypów wyprysku rąk. W części badań stosowano również leczenie ratunkowe, co mogło wpływać na ocenę efektu terapeutycznego.

Badania RWE:

- Badanie Suehiro 2022 wykazało, że u pacjentów z atopowym zapaleniem skóry w remisji stosowanie DEL dwa razy w tygodniu zapewniało podobne wyniki do miejscowych glikokortykosteroidów w zakresie kontroli świądu, nawodnienia skóry i częstości nawrotów. Chociaż liczbowo nawroty były częstsze w grupie DEL (32% vs 16%), różnice między grupami nie osiągnęły

istotności statystycznej. W podgrupie pacjentów z suchą skórą obserwowano nawet tendencję do większej poprawy nawodnienia skóry i świądu po DEL.

- Badanie Weißinger 2026 przeprowadzone u pacjentów z umiarkowanym i ciężkim przewlekłym wypryskiem rąk wykazało, że DEL oraz PUVA zapewniały porównywalną skuteczność. Po 12 tygodniach leczenia odpowiedź kliniczną PGA 0/1 uzyskało 82% pacjentów leczonych DEL i 73% leczonych PUVA, a w obu grupach odnotowano również wyraźną poprawę jakości życia oraz zmniejszenie świądu, bólu i zaburzeń snu. Różnice pomiędzy terapiami nie były jednak istotne statystycznie.

Podobne wnioski sformułowali autorzy badań RWE wskazując, że DEL może stanowić skuteczną alternatywę zarówno dla miejscowych glikokortykosteroidów w leczeniu podtrzymującym AZS, jak i dla PUVA u pacjentów z przewlekłym wypryskiem rąk, jednak ze względu na retrospektywny charakter badań, małą liczebność prób i krótki okres obserwacji wyniki wymagają potwierdzenia w większych badaniach prospektywnych

Zdarzenia niepożądane ogółem wystąpiły u ok. 45% pacjentów stosujących DEL i u ok. 45%-51% (podane zakresy dotyczą zdarzeń, które zareportowano w badaniach Delta1, Delta 2 i metaanalizy tych dwóch badań podsumowanych łącznie) pacjentów przyjmujących BSC, niemniej różnica nie była IS. Wśród najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych zareportowano: Covid-19 (DEL vs BSC: ok. 11% vs ok. 8%-13%), i zapalenie nosogardła (DEL vs BSC: ok. 7% vs ok. 6%-9%).

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest nieuwzględnienie wszystkich komparatorów, które w praktyce klinicznej stosowane są w analizowanym wskazaniu, m.in. cyklosporynę, metotreksat, azotioprynę, mykofenolan mofetylu i takrolimus, czy też inne fototerapie tj. UVA, UVB. Kolejnym ograniczeniem jest brak badań bezpośrednio porównujących DEL vs PUVA oraz stosunkowo krótki okres obserwacji w badaniach Delta 1 i Delta 2, jak również badań włączonych do metaanalizy, z tego względu najdłuższy okres obserwacji dla porównania skuteczności i bezpieczeństwa DEL vs BSC oraz vs PUVA wynosi 16 tygodni.

Wytyczne kliniczne

Międzynarodowe wytyczne kliniczne w przewlekłym wyprysku rąk (CHE) wskazują na kluczową rolę edukacji pacjenta, ograniczenia ekspozycji na czynniki drażniące i alergizujące, prawidłową higienę rąk, stosowanie rękawic ochronnych oraz regularne używanie emolientów i preparatów barierowych, które powinny być traktowane jako stały element terapii, ponieważ wspierają odbudowę bariery naskórkowej, zmniejszają suchość i świąd oraz mogą wydłużać okresy między zaostrzeniami. Leczenie miejscowe stanowi podstawę postępowania

farmakologicznego i najczęściej jest terapią pierwszego wyboru; obejmuje przede wszystkim miejscowe glikokortykosteroidy, inhibitory kalcyneuryny, pochodne witaminy D3 oraz nowoczesne niesteroidowe terapie ukierunkowane, w tym delgocytynyb.

Fototerapia, głównie PUVA (terapia łącząca psoralen z promieniowaniem UVA) i wąskopasmowe UVB, jest również wymieniana jako jedna z metod leczenia w ocenianym wskazaniu zwłaszcza u pacjentów, u których nie uzyskano odpowiedniej odpowiedzi na wielokrotne próby leczenia miejscowego, jednakże wiąże się z ograniczoną dostępnością, czasochłonnością, a także z ograniczeniami związanymi z bezpieczeństwem terapii, w tym potencjalnie zwiększonym ryzykiem rozwoju nowotworów. Leczenie ogólnoustrojowe zarezerwowane jest dla ciężkich i opornych postaci CHE. Alitretynoina pozostaje jedyną zarejestrowaną terapią ogólnoustrojową, ale wymaga monitorowania i ostrożności ze względu na działania niepożądane, natomiast glikokortykosteroidy systemowe oraz leki immunosupresyjne powinny być stosowane selektywnie i zwykle krótkotrwale. Natomiast DEL pozostaje jedyną zarejestrowaną terapią miejscową w leczeniu CHE.

Problem ekonomiczny

Zastosowanie delgocytynybu w miejsce fototerapii PUVA jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowana wartość współczynnika ICUR wyniosła 103 563,16 PLN/QALY z perspektywy NFZ i 151 828,60 PLN/QALY z perspektywy wspólnej. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy zastosowanie delgocytynybu w miejsce braku aktywnego leczenia jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowana wartość współczynnika ICUR wyniosła 82 346,50 PLN/QALY z perspektywy NFZ i 117 440,16 PLN/QALY z perspektywy wspólnej. Oszacowane wartości ICUR (niezależnie od perspektywy oraz przyjętego komparatora) znajdują się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy o refundacji.

W opinii analityków Agencji, okoliczności art. 13 zachodzą, z uwagi na brak randomizowanych badań klinicznych, dowodzących wyższości leku Anzupgo nad terapią PUVA. Zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji cena zgodna z art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji wynosi: [REDAKTOWANE] z perspektywy NFZ [REDAKTOWANE] z perspektywy wspólnej.

Ograniczenia analizy ekonomicznej wynikają bezpośrednio z ograniczonej dostępności dowodów naukowych dotyczącego jednego z obranych komparatorów (PUVA). W celu umożliwienia porównania delgocytynybu z PUVA w populacji umiarkowanej postaci CHE, w modelu zastosowano dane pochodzące z metaanalizy sieciowej (NMA), łączące [REDAKTOWANE]

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego – Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej, tj. NFZ i świadczeniobiorcy (pacjenta) w 5-letnim horyzoncie czasowym obejmującym lata 2027-2031.

Zgodnie z oszacowaniami w wariantcie podstawowym, objęcie refundacją leku Anzupgo spowoduje wzrost wydatków zarówno z perspektywy NFZ o ~ 6,0 mln, 10,0 mln, 14,0 mln, 18,0 mln, 20,0 mln PLN odpowiednio w I, II, III, IV i V roku analizy, jak i z perspektywy wspólnej – odpowiednio o 9,6 mln, 16,0 mln, 22,3 mln, 28,7 mln i 31,9 mln PLN w I, II, III, IV i V roku analizy.

Ograniczeniem analizy jest brak jednoznacznych danych dotyczących rzeczywistej częstości stosowania fotochemioterapii PUVA w leczeniu przewlekłego wyprysku rąk.

Kolejnym ograniczeniem analizy jest także niepewność związana z długością leczenia fototerapią PUVA.

Rekomendacje refundacyjne

Większość agencji wydała rekomendacje pozytywne (HAS 2025, NICE 2025, PBAC 2025 i SMC 2025) lub pozytywne warunkowe (CADTH 2025), wskazując na skuteczność kliniczną delgocytynibu względem podłoża kremowego bez substancji czynnej, a w części ocen także względem alitretynoiny. Jediną oceną negatywną była decyzja niemieckiego G-BA 2025/IQWiG 2025, w której uznano, że dodatkowy efekt zdrowotny delgocytynibu względem właściwej terapii porównawczej nie został udowodniony.

Jako najważniejsze ograniczenia wskazywano na niepewności ekonomiczne, brak pełnego potwierdzenia przewagi nad wszystkimi aktywnymi opcjami leczenia oraz ograniczony zakres danych porównawczych, zwłaszcza wobec fototerapii. Większość agencji wskazywała również na konieczność obniżenia ceny. Produkt leczniczy Anzupgo nie jest obecnie refundowany w żadnym z 32 krajów UE i EFTA.

Główne argumenty decyzji:

- Brak randomizowanych badań klinicznych, dowodzących wyższości leku Anzupgo nad terapią PUVA więc cena nie powinna być wyższa niż koszt tej terapii;
- Krótki okres obserwacji stanowi ograniczenie dostępnych dowodów;
- Umiarkowana heterogeniczność populacji, wynikającą m.in. z różnic w wyjściowym nasileniu choroby i odsetku poszczególnych podtypów wyprysku rąk;
- Brak refundacji w krajach UE.

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.4130.6.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Anzupgo (delgocytynib) we wskazaniu: leczenie przewlekłego wyprysku rąk o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim u dorosłych pacjentów, u których działanie miejscowo stosowanych kortykosteroidów jest niewystarczające lub nieodpowiednie”; data ukończenia: 20 lipca 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (LEO Pharma A/S).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem LEO Pharma A/S 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: (LEO Pharma A/S).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 108/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny leku Tepmetko (tepotynib) w ramach programu
lekowego: B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz
międzybłoniaka opłucnej (ICD-10:C45)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tepmetko (tepotinibum), tabl. powł., 225 mg, 60 szt., GTIN: 04065267923918, w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10:C45)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka z rozważeniem opcji płacenia za efekt terapeutyczny.

Rada zgłasza uwagi do projektu programu lekowego:

- *Warto rozważyć rozszerzenie kryteriów kwalifikacji o chorych w stopniu sprawności 2 według klasyfikacji Zubroda – WHO lub ECOG (obecnie jest 0-1). Publikowane ostatnio wyniki badań typu RWE, dowodzą korzyści jakie odnoszą chorzy w gorszym stanie sprawności (Pecci 20254). Jednocześnie profil bezpieczeństwa terapii z zastosowaniem tepotynibu wydaje się korzystny u chorych w gorszym stanie sprawności.”*
- *Zgodnie z kryteriami włączenia do programu lekowego tepotynib obejmuje leczenie w drugiej i kolejnych liniach (...) po wcześniejszym leczeniu za pomocą immunoterapii i/lub chemioterapii opartej na związkach platyny. Przyjęty zapis oznacza, że wcześniejsze leczenie może obejmować tylko immunoterapie lub tylko chemioterapie z platynami lub immunoterapie i chemioterapie opartą na platynach. Ewentualne określenie, jaka terapia musi zostać obligatoryjnie podjęta przed zastosowaniem leku Tepmetko wymaga doprecyzowania w zapisach programu lekowego.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Tepmetko (tepotynib) w leczeniu II i kolejnych liniach leczenia chorych na zaawansowanego niedrobnokomórkowego raka płuca z mutacjami prowadzącymi do pominięcia eksonu 14. (METex14) genu czynnika przejścia mezenchymalno-nabłonkowego,

k którzy wymagają terapii ogólnoustrojowej po wcześniejszej immunoterapii i/lub chemioterapii opartej na związkach platyny w ramach programu lekowego: B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10:C45)”. Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Tempetko jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Rak płuca jest najczęstszą przyczyną zgonów nowotworowych w Polsce i Europie. Według danych GLOBOCAN w 2022 roku na świecie rozpoznano około 2,48 mln nowych przypadków raka płuca, co stanowiło 12,4% wszystkich zachorowań na nowotwory. W Europie odnotowano około 485 tys. przypadków, przy czym choroba występowała niemal dwukrotnie częściej u mężczyzn niż u kobiet. Mutacje prowadzące do pominięcia eksonu 14 genu MET (METex14) są rzadkimi zmianami, których częstość zależy od typu histologicznego nowotworu. Występują u około 3–4% pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP), zazwyczaj bez współistnienia innych mutacji kierujących.

W przeglądzie systematycznym Mazieres i wsp. mediana częstości występowania zmian METex14 w NDRP wynosiła 2,0%. W podgrupach pacjentów z gruczolakorakiem lub rakiem niepłaskonabłonkowym wynosiła 2,4%, w nowotworach o histologii sarkomatoidalnej 12,0%, a w raku płaskonabłonkowym 1,3%. Częstość mutacji różniła się także geograficznie i wynosiła od 0,5% do 6,8% w Azji, od 0,5% do 3,3% w Europie oraz od 0,6% do 5,1% w Ameryce Północnej. W badaniu obejmującym 6 376 nowotworów litych i hematologicznych, analizowanych metodą sekwencjonowania nowej generacji (NGS), mutacje METex14 wykryto u 28 spośród 933 pacjentów z niepłaskonabłonkowym NDRP, co odpowiadało częstości 3,0%. U żadnego z tych pacjentów nie stwierdzono jednocześnie aktywujących mutacji w genach KRAS, EGFR lub ERBB2 ani rearanżacji genów ALK, ROS1 lub RET, co potwierdza, że METex14 zazwyczaj występuje jako niezależna mutacja kierująca.

Biorąc pod uwagę dostępne dowody kliniczne oraz aktualną praktykę kliniczną, komparatorem dla tepotynibu w drugiej i kolejnych liniach leczenia pacjentów z niedrobnokomórkowym rakiem płuca z mutacją w genie METex14 powinno być stosowanie docetakselu w monoterapii bądź w skojarzeniu z nintedanibem. Technologia nie była przedmiotem oceny AOTMiT.

Dowody naukowe

Skuteczność u pacjentów z zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca z mutacją pomijającą ekson 14 genu MET oceniano przede wszystkim w jednoramiennym badaniu VISION. W połączonych kohortach A i C, obejmujących 313 pacjentów, mediana czasu obserwacji wynosiła 32,6 miesiąca. Obiektywną odpowiedź na leczenie uzyskano u 51,4% pacjentów, a kontrolę choroby u 76,0%. Mediana czasu trwania odpowiedzi wyniosła 18,0 miesięcy, co wskazuje, że u części chorych odpowiedź na leczenie była długotrwała.

Mediana przeżycia wolnego od progresji choroby (PFS) wynosiła 11,2 miesiąca, natomiast mediana przeżycia całkowitego (OS) – 19,6 miesiąca. W populacji pacjentów wcześniej leczonych, otrzymujących tepotynib w drugiej lub kolejnej linii terapii, wyniki pozostawały zbliżone: mediana PFS wyniosła 11,0 miesięcy, a mediana OS 19,3 miesiąca. Odsetek obiektywnych odpowiedzi był w tej grupie nieco niższy i wynosił 45,0%, a mediana czasu trwania odpowiedzi – 12,6 miesiąca. Analiza długoterminowa potwierdziła stabilność uzyskanych rezultatów, bez istotnej zmiany wartości PFS i OS.

Dane pochodzące z rzeczywistej praktyki klinicznej były mniej korzystne – mediana PFS wyniosła 6,9 miesiąca, a mediana OS 7,6 miesiąca. Wyniki te należy jednak interpretować ostrożnie ze względu na niewielką liczebność grupy leczonej tepotynibem, wynoszącą 34 pacjentów oraz możliwe różnice w stanie klinicznym chorych kwalifikowanych do leczenia poza badaniem klinicznym.

W analizie pośredniej MAIC tepotynib wykazywał przewagę nad docetakselem oraz docetakselem w skojarzeniu z nintedanibem. W porównaniu z docetakselem mediana PFS była dłuższa o około 6,4 miesiąca, a mediana OS o 12,8 miesiąca. W porównaniu z docetakselem i nintedanibem różnica wynosiła około 5,1 miesiąca zarówno w zakresie PFS, jak i OS. Wyniki te sugerują istotną korzyść kliniczną terapii celowanej, należy jednak pamiętać, że są to porównania pośrednie, a badanie VISION nie zawierało randomizowanej grupy kontrolnej.

Odnosząc się do bezpieczeństwa w badaniu VISION niemal wszyscy pacjenci doświadczyli co najmniej jednego zdarzenia niepożądanego, jednak nie wszystkie zdarzenia były związane z tepotynibem. Działania niepożądane uznane za związane z leczeniem wystąpiły u 91,7% pacjentów, natomiast działania związane z leczeniem w stopniu co najmniej 3. odnotowano u 34,8%. Ciężkie działania niepożądane związane z leczeniem wystąpiły u 15,7% chorych. Redukcji dawki wymagało 33,5% pacjentów, a trwałego zakończenia terapii z powodu działań związanych z leczeniem – 14,7%.

Najczęstszym działaniem niepożądanym był obrzęk obwodowy, występujący u 67,1% pacjentów, przy czym u 11,2% osiągał nasilenie co najmniej 3. stopnia. Do pozostałych częstych działań należały hipalbuminemia, nudności, biegunka oraz zwiększenie stężenia kreatyniny. Zdarzenia te miały przeważnie łagodne lub umiarkowane nasilenie. Dane z rzeczywistej praktyki klinicznej potwierdziły podobny profil bezpieczeństwa – działania niepożądane stopnia 3.–4. wystąpiły u 18% pacjentów, a dominującym problemem pozostawały obrzęki obwodowe. Profil toksyczności tepotynibu różni się od profilu klasycznej chemioterapii. Tepotynib powoduje głównie działania przewlekłe, takie jak obrzęki, hipalbuminemia czy zaburzenia parametrów laboratoryjnych. Docetaksel wiąże się natomiast z toksycznością cytotoksyczną, zwłaszcza hematologiczną, w tym neutropenią i gorączką neutropeniczną, które mogą stanowić

bezpośrednie zagrożenie życia. Dodanie nintedanibu może dodatkowo zwiększać częstość i nasilenie działań niepożądanych.

Nie przedstawiono bezpośredniego porównania bezpieczeństwa tepotynibu z immunoterapią ani formalnej analizy porównawczej bezpieczeństwa z docetakselem.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne europejskie (ESMO Living Guidelines 2026) dotyczące leczenia NDRP z mutacją prowadzącą do pominięcia eksonu 14 (METex14) zalecają tepotynib w pierwszej linii leczenia lub po wcześniejszej chemioterapii w schemacie dwulekowym opartym na pochodnych platyny z zastosowaniem inhibitorów punktów kontrolnych układu odpornościowego lub bez nich. Wytyczne ASCO 2025 i NCCN 2026 również wskazują tepotynib jako opcję leczenia pacjentów z mutacją METex14 zarówno w I jak i II linii leczenia.

Inne wymieniane w ramach odnalezionych dokumentów możliwości leczenia stanowiły kapmatynib (ESMO 2026, NCCN 2026, ASCO 2026), kryzotynib (NCCN 2026) oraz standardowe leczenie systemowe stosowane w NDRP obejmujące chemioterapię oraz terapie immunologiczne (PTOK 2025, NCCN 2026, NICE 2024).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie tepotynibu w miejsce docetakselu jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania tepotynib vs docetaksel wyniósł [redacted] (z RSS) oraz 368 987,88 zł/QALY (bez RSS). Wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie tepotynibu w miejsce nintedanibu w skojarzeniu z docetakselem jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania tepotynib vs nintedanib + docetaksel wyniósł [redacted] oraz 370 084,42 zł/QALY (bez RSS). Wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

Przy wartości ICUR oszacowanej w analizie podstawowej oszacowana przez wnioskodawcę wartość progowa ceny zbytu netto leku, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość lub dodatkowego roku życia, jest równy wysokości progu, o którym mowa w art. 12 pkt 13 i art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy, wynosi od [redacted]

[redacted] W związku z brakiem randomizowanych badań klinicznych wykazujących wyższą skuteczność technologii wnioskowanej od technologii dotychczas refundowanych w danym wskazaniu, zachodzą przesłanki do zastosowania art. 13 ustawy o refundacji.

W horyzoncie 2-letnim zgodnie z oszacowaniami, populacja docelowa leczona wnioskowaną technologią wyniesie [redacted] pacjentów zarówno w pierwszym jak i drugim roku refundacji. Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane [redacted]
[redacted] Całkowite wydatki budżetu NFZ w wariantcie prawdopodobnym w I roku analizy wyniosą [redacted] oraz 14 075 640 zł (bez RSS), z kolei w II roku analizy [redacted] oraz 18 440 379 zł (bez RSS).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną rekomendację pozytywną, cztery rekomendacje pozytywne warunkowo, jedną rekomendację negatywną oraz jedną w trakcie oceny (Medicinradet 2026). Rekomendacja PBS wydała pozytywną rekomendację dla tepotyribu, zaleciła włączenie go do wykazu leków przeznaczonych do leczenia pacjentów z miejscowo zaawansowanym (stadium IIIB) lub przerzutowym (stadium IV) niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NSCLC), u których stwierdzono obecność mutacji protoonkogenu MET, czyli receptora kinazy tyrozynowej (MET), powodującej pominięcie eksonu 14 (METex14sk). Rekomendacje pozytywne warunkowo wydane przez NCPE, SMC, NICE oraz TLV, jako warunek wskazano zapewnienie efektywności kosztowej, dostarczenie go zgodnie z umową handlową oraz obniżenie rzeczywistego kosztu terapii dla płatnika poprzez zawarcie poufnej umowy finansowej. W rekomendacji negatywnej CDA-AMC, wskazano brak możliwości wykazania przewagi nad innymi terapiami. G-BA wskazuje na brak dodatkowej korzyści klinicznej (lek Tepmetko pozostaje refundowany, ale bez uznania wyższej wartości klinicznej).

Główne argumenty decyzji:

- Postępowanie zgodne z wytycznymi klinicznymi;
- Częściowo niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Refundacja w kilkunastu krajach UE;
- Pozytywne warunkowo rekomendacje refundacyjne jednak wskazujące na konieczność obniżenia kosztów.

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.4131.9.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tepmetko (tepotynib) w ramach programu lekowego: B.6. »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10:C45)«”; data ukończenia: 16 lipca 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

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

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Merck Sp. z o.o. Polska 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: (Merck Sp. z o.o. Polska).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 109/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny zmian w treści programu lekowego B.29 „Leczenie
chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w treści programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił Agencji sporządzenie opinii w zakresie proponowanych zmian programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)” w oparciu o przygotowane materiały HTA. W ramach programu B.29 realizowana jest terapia kilku postaci stwardnienia rozsianego. Oceniane przez Radę propozycje obejmują zmiany kryteriów kwalifikacji do leczenia okrelizumabem pacjentów z postacią pierwotnie postępującą stwardnienia rozsianego. Oceniane zmiany obejmują:

- zmianę dolnej granicy punktacji EDSS, aktualnie pacjent musi być w stadium EDSS ≥ 3 ; po zmianie kwalifikacja następowałaby od stadium EDSS 0;*
- zmianę górnej granicy punktacji EDSS, aktualnie pacjent musi być w stadium EDSS $\leq 6,5$, po zmianie terapia mogłaby trwać do wystąpienia stadium EDSS ≤ 7 ;*
- usunięcie administracyjnych zapisów dotyczących czasu trwania PPMS, aktualnie do PL nie mogą być włączani pacjenci, u których od wystąpienia pierwszych objawów minęło > 10 lat (przy EDSS ≤ 5) lub więcej niż 15 lat (przy EDSS > 5).*

Stwardnienie rozsiane jest przewlekłą, zapalno-demielinizacyjną chorobą o podłożu immunologicznym. Odznacza się wieloogniskowym i rozsianym w czasie powstawaniem zmian w ośrodkowym układzie nerwowym, które prowadzą do utraty aksonów. Charakterystyczną patologiczną cechą są okołozylne zmiany zapalne, prowadzące do tworzenia się blaszek demielinizacyjnych. W wyniku zapaleń dochodzi do uszkodzenia oligodendrocytów oraz demielinizacji. We wczesnych stadiach aksony są nienaruszone, zmienia się to wraz z postępem choroby, podczas którego następują nieodwracalne ich uszkodzenia. Choroba rozpoczyna się głównie

u młodych dorosłych pojawieniem się klinicznie izolowanego zespołu objawów neurologicznych o podłożu demielinizacyjnym. Przebieg choroby może być zmienny, jednak systematycznie prowadzi do pogarszania stanu neurologicznego pacjentów i jest najczęstszą nieurazową przyczyną trwałego inwalidztwa u młodych osób. Rzut choroby oznacza pojawienie się nowych lub wyraźne pogłębienie dotychczasowych obiektywnych objawów neurologicznych, które utrzymują się co najmniej 24 godziny, bez współistniejącej gorączki czy infekcji. Epizody napadowe trwające kilka sekund lub minut, które powtarzają się w okresie przekraczającym 24 godziny, mogą być uważane za rzut. Podstawą rozpoznania rzutu jest ocena kliniczna.

Okrelizumab jest aktualnie jedyną substancją finansowaną w ramach przedmiotowego PL u pacjentów z tą postacią choroby.

Wytyczne kliniczne

W wytycznych klinicznych (polskie PTN 2024, brytyjskie ABN 2024, NICE 2019, NICE 2026, Amerykańskie AAN 2024) jedyną rekomendowaną substancją jest okrelizumab. W żadnym z dokumentów nie wskazano dolnej i górnej wartości EDSS, przy której należy rozpoczynać leczenie. W większości z nich wskazano, iż leczenie należy rozpocząć na wczesnym etapie choroby.

Dowody naukowe

Brak jest badań, w których przedstawiono oddzielne wyniki na temat stosowania okrelizumabu u pacjentów z PPMS i EDSS < 3. Dostępne są natomiast publikacje w których wskazano, iż uwzględniona populacja obejmowała m.in. pacjentów z EDSS < 3,0.

Najbardziej wiarygodne dane wskazują, że wcześniejsze rozpoczęcie i długotrwała kontynuacja okrelizumabu zmniejszają ryzyko progresji EDSS. Mogą opóźniać osiągnięcie EDSS $\geq 7,0$ oraz wpływać korzystnie na funkcję kończyn górnych i chód. Dodatkowo potwierdzają trwałość efektu leczenia w PPMS, wskazując na utrzymywanie się korzyści w zakresie ograniczenia progresji EDSS, opóźnienia konieczności korzystania z wózka inwalidzkiego oraz wydłużenia odstępu między kolejnymi zdarzeniami progresji.

Dane dotyczące skuteczności okrelizumabu u pacjentów z PPMS rozpoczynających leczenie przy bardzo zaawansowanej niepełnosprawności, tj. EDSS > 6,5, są nadal ograniczone, jednak dostępne wyniki wskazują, że korzyść kliniczna z terapii może obejmować również tę populację. Okrelizumab istotnie zmniejszał ryzyko 12-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji niepełnosprawności względem placebo, a efekt był spójny także dla 24-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji. Szczególnie istotne dla ocenianej populacji jest to, że korzyść z leczenia utrzymywała się również u chorych z EDSS > 6,5. W tej podgrupie odnotowano 49% redukcję ryzyka 12-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji niepełnosprawności, 60% redukcję ryzyka 12-tygodniowo potwierdzonej progresji EDSS oraz 41% redukcję ryzyka 12-

tygodniowo potwierdzonej progresji 9HPT. Wyniki te wskazują, że skuteczność okrelizumabu nie ograniczała się wyłącznie do pacjentów z niższym stopniem niepełnosprawności, lecz obejmowała także chorych przekraczających próg EDSS 6,5. Ma to znaczenie kliniczne, ponieważ u pacjentów z EDSS >6,5 zachowanie funkcji kończyn górnych i opóźnienie dalszej progresji mogą mieć istotne znaczenie dla utrzymania samodzielności. Tym samym dostępne dowody wspierają zasadność rozważenia leczenia okrelizumabem u wybranych pacjentów z PPMS i EDSS >6,5, szczególnie jeśli celem terapii jest spowolnienie dalszej progresji, zachowanie funkcji kończyn górnych i opóźnienie utraty samodzielności.

W odnalezionych wytycznych i badaniach nie odniesiono się do zmian, obejmujących administracyjne ograniczenie czasu rozpoczęcia terapii od momentu diagnozy PPMS u pacjenta.

Problem ekonomiczny

W przypadku uwzględnienia zaproponowanych zmian w treści PL B.29 dla populacji z pierwotnie postępującą postacią stwardnienia rozsianego, wydatki płatnika publicznego wzrosną rocznie o [REDACTED]

Główne argumenty decyzji:

- niezaspokojona potrzeba medyczna;
- wcześniejsze rozpoczęcie i długotrwała kontynuacja okrelizumabu zmniejszają ryzyko progresji EDSS, również przy zaawansowanej niepełnosprawności.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.4121.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zmian w treści programu lekowego B.29: »LECZENIE CHORYCH NA STWARDNIENIE ROZSIANE (ICD-10: G35)«”; data ukończenia: 23 lipiec 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Roche Registration GmbH).*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Roche Registration GmbH) 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: (Roche Registration GmbH).