



DOR.001.31.2026.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 33/2026
w dniu 10 sierpnia 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:00.

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

1. Andrzej Dąbrowski
2. Paweł Grzesiewski
3. Roman Junik
4. Maciej Karaszewski
5. Elżbieta Lanc
6. Marcin Lipowski
7. Tomasz Pasierski
8. Małgorzata Sznitowska
9. Aleksandra Zasada

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Zbigniew Siudak

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Lunsumio (mosunetuzumabum) w ramach programu lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe”.
3. Przygotowanie opinii w sprawie uchylecia decyzji o objęciu refundacją leku Tavneos (avacopanum) we wskazaniu B.75 „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.
4. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2027 – 2028”.
5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Wińsko na lata 2027-2031”.

6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej cenobamat we wskazaniu pozarejestacyjnym: terapia dodana po co najmniej trzech nieudanych próbach leczenia u pacjentów pediatrycznych z encefalopatiami padaczkowymi pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, Zespołu Dravet, zespołu Westa i innych rzadkich genetycznie uwarunkowanych encefalopatii padaczkowych.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Lunsumio, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 2 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 9 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

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

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Sznitowska.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Aleksandra Zasada.

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

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

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dotyczący leku Tavneos.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawili Roman Junik.

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

Do posiedzenia dołączył Zbigniew Siudak,
który nie zadeklarował konfliktu interesów.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji podsumował program polityki zdrowotnej dot. leczenia ran przewlekłych (pow. Wągrowiecki).

We wstępnej dyskusji udział wzięli Zbigniew Siudak i Tomasz Pasierski.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Marcin Lipowski.

Treść uchwały doprecyzowali Tomasz Pasierski i Marcin Lipowski.

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

Ad 5. Analityk Agencji podsumował program polityki zdrowotnej dot. rehabilitacji leczniczej (gm. Wińsko).

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Elżbieta Lanc.

Treść uchwały doprecyzowali: Elżbieta Lanc, Tomasz Pasierski i Maciej Karaszewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji podsumował program polityki zdrowotnej dot. profilaktyki RSV w województwie małopolskim.

W dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Maciej Karaszewski, Paweł Grzesiewski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Paweł Grzesiewski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji zaprezentował dane dot. substancji czynnej cenobamat we wskazaniu pozarejestacyjnym.

Projekt opinii Rady przedstawił Zbigniew Siudak.

W dyskusji Rady, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały udział wzięli: Zbigniew Siudak, Tomasz Pasierski, Aleksandra Zasada, Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:07.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 114/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
w sprawie oceny leku Lunsumio (mosunetuzumabum) w ramach
programu lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki
B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Lunsumio (mosunetuzumabum), roztwór do wstrzykiwań, 45 mg, 1 fiol. 1 ml, GTIN: 07613326108133;*
- *Lunsumio (mosunetuzumabum), roztwór do wstrzykiwań, 5 mg, 1 fiol. 0,5 ml, GTIN: 07613326108119;*

w ramach programu lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)” – w ramach I części programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaka grudkowego (ICD-10: C82)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia RSS, tak aby koszt leku w postaci podskórnej nie był wyższy niż leku w postaci dożylniej.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Aktualnie, w omawianym wskazaniu obowiązuje refundacja dożylniej postaci Lunsumio. Rozpatrywany wniosek obejmuje rozszerzenie refundacji o postać podskórną, przy zachowaniu tych samych kryteriów kwalifikacji, jakie obowiązują dla postaci dożylniej.

Ten produkt leczniczy został dopuszczony do obrotu zgodnie z procedurą dopuszczenia warunkowego. Oczekiwane są dalsze dowody świadczące o korzyści ze stosowania tego leku. Europejska Agencja Leków dokona, co najmniej raz do roku, przeglądu nowych informacji o tym produkcie leczniczym i w razie konieczności ChPL zostanie zaktualizowana.

Problem zdrowotny

Chłoniak grudkowy (ang. follicular lymphoma) jest nowotworem z komórek B, wywodzącym się z ośrodków rozmnażania grudek chłonnych. Jest najczęstszym w USA i Europie Zachodniej chłoniakiem powolnym (~20%). Zapadalność w tych obszarach wynosi 2,2-3,2/100000 i jest znacznie mniejsza w Europie Wschodniej. Mediana wieku zachorowania wynosi 59-65 lat. Kobiety chorują 1,7 razy częściej od mężczyzn. Zgodnie z danymi z bazy NFZ, w ramach programu lekowego B.12.FM, w 2025 roku Lunsumio podawanym dożylnie leczonych było 56 pacjentów.

Dowody naukowe

Równoważność farmakokinetyczną dożylną i podskórnej postaci mosunetuzumabu wykazano tylko w jednym badaniu – badanie GO29781 (N. L. Bartlett i wsp. Fixed-Duration Subcutaneous Mosunetuzumab in Relapsed/Refractory Follicular Lymphoma: Pivotal Phase 2 Primary Analysis American Journal of Hematology 2026; 101: 986–997). Porównywalność z postacią dożylną opiera się na podobnych wynikach nierandomizowanych kohort oraz na wykazaniu odpowiedniej ekspozycji farmakokinetycznej. Pozostaje zastrzeżenie metodologiczne: równoważność skuteczności jest bardzo prawdopodobna, lecz nie została dowiedziona w randomizowanym badaniu porównującym SC bezpośrednio z IV.

Postać podskórna może mieć korzystniejszy profil bezpieczeństwa, szczególnie w aspekcie znacznie rzadziej występującego zespołu uwalniania cytokin.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono 4 zagraniczne dokumenty tj. amerykańskie (NCCN 2026), hiszpańskie (GELTAMO 2026), europejskie (ESMO 2025 i 2026) oraz niemieckie (DGHO 2025), w których opisano wytyczne kliniczne dotyczące leczenia dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym chłoniakiem grudkowym.

Amerykańskie wytyczne NCCN 2026 wskazują, że w 3. linii leczenia i kolejnych można rozważyć schematy zalecane w 2. linii, jeśli nie były wcześniej stosowane. Preferowane opcje leczenia w 3. linii obejmują terapie angażujące limfocyty T: przeciwciała bispecyficzne, tj. epkorytamab i mosunetuzumab, oraz terapię CAR-T anty-CD19: aksykabtagen cyloleucel, lizokabtagen maraleucel lub tisagenlecleucel. Wytyczne europejskie ESMO 2025/2026 wskazują, iż do istotnych opcji w późniejszych liniach zaliczane są zanubrutinib z obinutuzumabem, przeciwciała bispecyficzne w monoterapii tj. epkorytamab, mosunetuzumab lub odronextamab oraz terapia CAR-T, obejmująca aksykabtagen cyloleucel, tisagenlecleucel i lizokabtagen maraleucel, z różnicami w zakresie wskazań rejestracyjnych FDA i EMA dotyczących liczby wcześniejszych linii leczenia.

W żadnych z odnalezionych wytycznych nie odnaleziono informacji dotyczących preferencji dla drogi podania mosunetuzumabu w formie dożylniej czy podskórnej.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z obliczeniami własnymi Agencji, w wariantcie z RSS refundacja Lunsumio SC zamiast Lunsumio IV spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego [redacted] rocznie w przeliczeniu na jednego pacjenta. Zgodnie z analizą progową wynikającą z zapisów art. 13 ustawy o refundacji, wartości cen zbytu netto produktów leczniczych Lunsumio SC 5 mg oraz Lunsumio SC 45 mg, przy których koszty ich stosowania nie są wyższe od kosztu stosowania refundowanej technologii opcjonalnej wynoszą w wariantcie z RSS odpowiednio [redacted] oraz [redacted], natomiast w wariantcie bez RSS [redacted] oraz [redacted]. Według oszacowań wnioskodawcy w wariantcie z RSS, w przypadku wprowadzenia finansowania leku Lunsumio SC we wnioskowanym wskazaniu, [redacted] płatnika publicznego wyniosą [redacted] w I roku oraz [redacted] w II roku.

Oszacowania własne Agencji w wariantcie z RSS wskazują, iż [redacted] wynikające z wprowadzenia finansowania leku Lunsumio SC [redacted] niż według oszacowań przedstawionych w analizie podstawowej wnioskodawcy odpowiednio [redacted] w pierwszym roku oraz [redacted] w drugim roku. W przypadku wprowadzenia finansowania leku Lunsumio SC we wnioskowanym wskazaniu, [redacted] płatnika publicznego wyniosą [redacted] w I roku oraz i [redacted] w II roku.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono warunkowo pozytywną rekomendację kanadyjskiej agencji z 2026 roku (CDA-AMC 2026) oraz informację na temat trwającego procesu oceny brytyjskiej agencji NICE. Agencja kanadyjska rekomenduje objęcie refundacją leku Lunsumio SC, jeśli spełnione są szczególne warunki, m.in. całkowity koszt terapii Lunsumio SC nie powinien przekraczać całkowitego kosztu leczenia najtańszym odpowiednim komparatorem stosowanym w tym samym wskazaniu. W argumentacji wskazano, że chociaż dostępne dowody wskazują na niepewną wartość kliniczną ocenianej interwencji, to ze względu na rzadkość i ciężki przebieg choroby, Lunsumio SC może zaspokajać istotną niezaspokojoną potrzebę medyczną w stopniu uzasadniającym wydanie pozytywnej rekomendacji, pomimo niepewności dotyczącej jego wartości klinicznej.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Lunsumio (mosunetuzumab) w postaci podskórnej jest finansowany w 1 kraju UE i EFTA (na 30 wskazanych) we wskazaniu nawrotowy lub oporny chłoniak grudkowy – stan na dzień 04.05.2026 r.

Główne argumenty decyzji

- *Podskórna postać leku zapewnia dodatkowe korzyści dla pacjenta: znacznie krótsze i wygodniejsze podanie leku – bez dostępu dożylnego, krótszy pobyt w placówce medycznej oraz prawdopodobnie mniejsze ryzyko wystąpienia zespołu uwalniania cytokin.*
- *Efekty kliniczne terapii postacią podskórną prawdopodobnie nie różnią się od efektów terapii postacią dożylną.*
- *Możliwe zmniejszenie wydatków z budżetu płatnika, w sytuacji zastosowania bardziej korzystnego dla płatnika RSS.*

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.4131.12.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Lunsumio (mosunetuzumab) w ramach programu lekowego B.12.FM. »Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)« – w ramach I części: »Leczenie chorych na chłoniaka grudekowego (ICD-10: C82)«, data ukończenia: 30 lipca 2026 roku.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

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

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

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

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



Opinia Rady Przejrzystości
nr 111/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
w sprawie uchylecia decyzji o objęciu refundacją leku
Tavneos (avacopanum) we wskazaniu B.75 „Leczenie pacjentów
z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3,
M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne uchylenie decyzji o objęciu refundacją leku Tavneos (avacopanum) we wskazaniu B.75 „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem PLR2.4504.258.2026.DG z dnia 10 lipca 2026 r. Minister Zdrowia, na podstawie art. 33, ust. 2 URL, zlecił przygotowanie przez Radę Przejrzystości opinii dotyczącej uchylecia decyzji administracyjnych o objęciu refundacją leków:

- *Tavneos (awakopan), kaps. twarde, 10 mg, 30 szt., GTIN: 04150174419323;*
- *Tavneos (awakopan), kaps. twarde, 10 mg, 180 szt., GTIN: 04150174419491;*

stosowanych wyłącznie we wskazaniu zdefiniowanym treścią programu lekowego B.75 „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)”, mając na względzie opinię Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi Europejskiej Agencji Leków w sprawie leku Tavneos.

Lek Tavneos zawiera substancję czynną awakopan, która wiąże się w organizmie z białkiem będącym receptorem dopełniacza 5a. Stosowany w leczeniu osób dorosłych ze stopniowo pogarszającymi się chorobami wywołanymi zapaleniem małych naczyń krwionośnych, zwanymi ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) oraz mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA). Często atakuje nerki, ale może również wpływać na inne narządy. Receptor dopełniacza 5a pełni kluczową rolę w rozwoju procesu zapalnego. Dotąd uważano, że lek wiąże się z tym białkiem, blokując jego działanie, a tym samym ograniczając stan zapalny naczyń krwionośnych we wspomnianych chorobach.

W dniu 16 lipca 2026 r. URPL wydał komunikat bezpieczeństwa opublikowany na stronie internetowej „Tavneos (awakopan): zalecenie cofnięcia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE ze względu na niekorzystny stosunek korzyści do ryzyka tożsamy, z komunikatem DHPC EMA z dnia 17 lipca 2026 r., a także z komunikatem amerykańskiej Center for Drug Evaluation and Research (CDER) z 27 kwietnia 2026 r

W dniu 4 sierpnia 2026 r. Komisja Europejska wydała decyzję cofającą pozwolenie na dopuszczenie do obrotu ww. produktu leczniczego. W najbliższym czasie przedmiotowa decyzja zostanie opublikowana w oficjalnym Wspólnotowym Rejestrze Produktów Leczniczych.

Dowody naukowe

Produkt Tavneos (awakopan) otrzymał pierwotnie dopuszczenie do obrotu 11 stycznia 2022 roku w ramach procedury scentralizowanej prowadzonej przez EMA, do stosowania, w połączeniu ze schematem leczenia rytuksymabem lub cyklofosfamidem, w leczeniu dorosłych pacjentów z ciężką, aktywną ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowym zapaleniem naczyń (MPA). Wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu Tavneos złożony przez wnioskodawcę, Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France, wymieniał jedno badanie kliniczne fazy III (ADVOCATE, znane również jako badanie CL010_168) i dwa uzupełniające badania kliniczne fazy II (CL002_168 i CL003_168). Badanie ADVOCATE (sponsor: ChemoCentryx) uznano za badanie kluczowe dla oceny efektywności klinicznej produktu Tavneos w jego wskazaniu terapeutycznym.

W styczniu 2026 r. EMA dowiedziała się o nowych informacjach, które wywołały wątpliwości co do integralności danych z badania ADVOCATE. Nowe informacje dotyczyły w szczególności postępowania sponsora z bazą danych z badania ADVOCATE. Wzbudziło to poważne wątpliwości co do tego, czy do danych z badania wprowadzano poprawki, czy takie działania (jeśli miały miejsce) były spójne z wcześniej zatwierdzonym protokołem i planem analizy statystycznej dla badania, a także czy te nowe informacje mogą wpłynąć na wiarygodność badania ADVOCATE i ocenę wyników przeprowadzoną uprzednio na podstawie informacji udostępnionych EMA w momencie przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Tavneos przez KE.

Dnia 29 stycznia 2026 r. KE wszczęła zatem procedurę na podstawie art. 20 rozporządzenia (WE) nr 726/2004 i zwróciła się do Komitetu ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) z wnioskiem o ocenę wpływu powyższych kwestii na stosunek korzyści do ryzyka dla produktu Tavneos oraz o sporządzenie opinii w zakresie tego, czy odpowiednie pozwolenie na dopuszczenie do obrotu tego produktu powinno zostać utrzymane, zmienione, zawieszone bądź wycofane.

Przegląd danych dostarczonych w kontekście procedury wyjaśniającej ujawnił poważne naruszenia zasad GCP (Dobrej Praktyki Klinicznej) w postępowaniu z danymi dotyczącymi pierwszorzędowego punktu końcowego kluczowego badania klinicznego ADVOCATE.

Personel sponsora dokonał przeglądu odślepionych danych dotyczących skuteczności po początkowym zamknięciu bazy danych (5 listopada 2019 r.) i wykrył, że przewaga (ang. superiority) w 52. tygodniu nie została wykazana. Następnie na podstawie wiedzy o wynikach leczenia u dziewięciu osób przeprowadzono ponowną ocenę rozstrzygającą (ang. adjudication), po czym powtórzono analizę pierwszorzędową, co spowodowało zmianę wyniku dla przewagi w 52. tygodniu z nieistotnego na istotny statystycznie. Sponsor w pierwotnym wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu i w procedurach prowadzonych po udzieleniu pozwolenia nie ujawnił pierwotnej analizy ani modyfikacji danych po odślepieniu. Wręcz przeciwnie, raport z badania klinicznego wyraźnie stwierdzał, że przestrzegano procesu odślepiania opisanego w protokole. Chociaż podmiot odpowiedzialny (Marketing Authorisation Holder, MAH) uzasadnił ponowną ocenę rozstrzygającą błędami w ocenie pierwotnej, to weryfikacja danych od poszczególnych pacjentów i zasad rozstrzygania oraz definicji punktów końcowych nie potwierdziła tego stwierdzenia. Wpływu tego naruszenia nie można ograniczyć do określonej części danych. Kwestie te, uwzględniane łącznie, prowadzą do wniosku, że całego badania nie można uznać za zgodne z GCP i zapewniające wiarygodne wyniki.

Badanie ADVOCATE było jedynym badaniem stanowiącym podstawę pierwotnego pozwolenia na dopuszczenie produktu Tavneos do obrotu. W badaniu tym, zgodnie ze sprawozdaniem z badania klinicznego przedłożonym w ramach wniosku o udzielenie pozwolenia, wykazano równoważność (ang. non-inferiority) w odniesieniu do remisji w 26. tygodniu, a w 52. tygodniu udokumentowano wystąpienie przewagi nad lekiem porównawczym w odniesieniu do utrzymującej się remisji. W momencie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu uznano, że w przypadku remisji w 26. tygodniu interpretacja równoważności była skomplikowana, ponieważ w obu grupach badania podawano dodatkowe immunosupresyjne leczenie indukcyjne. Dlatego ważnym czynnikiem decydującym o pozytywnym stosunku korzyści do ryzyka w momencie przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu Tavneos była przewaga w zakresie pierwszorzędowego punktu końcowego w ocenie skuteczności w 52. tygodniu. Z powodów wyjaśnionych powyżej widać, że przewaga w 52. tygodniu nigdy nie została wykazana. Dane przedstawione w ramach wniosku o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu tego produktu leczniczego, które stanowiły wówczas podstawę pierwotnej oceny stosunku korzyści do ryzyka, były zatem nieprawidłowe i wprowadzające w tym zakresie w błąd.

Co więcej, drugorzędowe punkty końcowe badania ADVOCATE, takie jak wskaźnik toksyczności glikokortykosteroidów (GC), nie były kontrolowane pod względem wielokrotności porównań i są dotknięte tymi samymi ograniczeniami projektu badania i wiarygodności co pierwszorzędowe punkty końcowe. (w ramach dokumentacji i w analizach wnioskodawcy wskazywano na istotne statystycznie różnice na korzyść wnioskowanej technologii w zakresie toksyczności). Dodatkowe dowody dotyczące skuteczności awakopanu z okresu po wprowadzeniu do obrotu, w tym z obserwacyjnego badania bezpieczeństwa (AVACOSTAR), są nieprzekonujące, wykazują ograniczone lub nieistotne klinicznie korzyści i są dodatkowo obarczone ograniczeniami metodologicznymi związanymi z badaniami obserwacyjnymi.

Jeśli chodzi o profil bezpieczeństwa stosowania awakopanu, po udzieleniu pierwotnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu zgłoszono szereg zakończonych zgonem przypadków polekowego uszkodzenia wątroby lub zespołu zanikania przewodów żółciowych (informacje te przedstawiono w AWA OT.423.1.54.2024), a ostatnie trzy procedury pojedynczej oceny okresowych raportów o bezpieczeństwie (PSUSA) skutkowały odpowiednią aktualizacją druków informacyjnych w celu zminimalizowania poważnego ryzyka uszkodzenia wątroby.

Kluczowe badanie na poparcie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu zostało uznane za niewiarygodne z powodu poważnego naruszenia zasad GCP, stwierdza się, że nie istnieją już dowody na to, by korzyści ze stosowania produktu Tavneos przewyższały ryzyko — w szczególności w kontekście poważnego ryzyka dotyczącego wątroby. CHMP uznaje, że stosunek korzyści do ryzyka w przypadku produktu Tavneos jest ujemny, a dane na poparcie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu są nieprawidłowe. W związku z tym zaleca się wycofanie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Produkt Tavneos w analizowanym wskazaniu był dotychczas oceniony w AOTMiT dwukrotnie:

- w roku 2023 w ramach oceny technologii o wysokiej innowacyjności (produkt nie został umieszczony na Wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności z dnia 15 marca 2023 r.);
- w roku 2024 w ramach standardowej oceny wniosku refundacyjnego.

Obie analizy w głównej mierze bazowały na wynikach badania klinicznego ADVOCATE, które w opinii CHMP nie może aktualnie stanowić źródła danych o skuteczności i bezpieczeństwie leku.

Produkt Tavneos (awakopan) został objęty refundacją od 1 lipca 2025 r. w ramach programu lekowego B.75 „Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń” w części I ww. programu, tj. „Leczenie pacjentów z ziarniniakowatością z zapaleniem naczyń (GPA) lub mikroskopowym

zapaleniem naczyń (MPA)” na podstawie Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2025 r.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z obowiązującymi przepisami prawa decyzja o objęciu refundacją została wydana na okres 2 lat. Według danych Centrum eZdrowia w okresie od 1 lipca 2025 r. do 30 kwietnia 2026 r. leczenie awakopaniem rozpoczęło 48 pacjentów (20 w 2025 roku, 28 w 2026 roku). Łączne sprawozdane wydatki związane z refundacją w analizowanym okresie wyniosły [REDACTED]

Główne argumenty decyzji

- Usunięcie ze Wspólnotowego Rejestru Produktów Lekniczych.
- Brak deklarowanej skuteczności terapeutycznej.
- Ciężkie niepożądane działania produktu leczniczego zagrażające życiu lub zdrowiu ludzkiemu.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 33 ust. 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 5 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: DOR.416.1.2026 „Tavneos (awakopan) w ramach programu lekowego: B.75 »Leczenie pacjentów z układowymi zapaleniami naczyń (ICD-10: M30.1, M31.3, M31.5, M31.6, M31.7, M31.8)«”; data ukończenia: 6 sierpnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France 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: Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 112/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców
Powiatu Wągrowieckiego na lata 2027-2028”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2027-2028”.

Uzasadnienie

Oceniany projekt programu dotyczy istotnego problemu zdrowotnego, jakim jest występowanie i leczenie ran przewlekłych. Na podstawie danych NFZ wskazano, że „najczęstszą przyczyną hospitalizacji z powodu zmian troficznych w obrębie kończyny dolnej, jest cukrzyca”. Wnioskodawca wskazał, że problem zdrowotny ran przewlekłych dotyczy ok. 1,5% populacji. W projekcie oszacowano, że wśród mieszkańców powiatu wągrowieckiego z tym problemem zmagają się ok. 1 000 osób; założono zgłaszalność do programu na poziomie 20% na rok.

Głównym celem projektu jest „poprawa stanu zdrowia mieszkańców powiatu wągrowieckiego, cierpiących na rany przewlekłe kończyn dolnych (w tym m.in. stopę cukrzycową i owrzodzenia), poprzez uzyskanie pełnego wygojenia lub istotnego zmniejszenia powierzchni rany u minimum 60% pacjentów poddanych terapii skojarzonej metodą laserobarii w okresie od 2027 do 2028 roku”.

Populację docelową będą stanowić osoby pełnoletnie zamieszkałe na terenie powiatu wągrowieckiego z trudno gojącymi się ranami w obrębie kończyn dolnych i górnych (do wysokości kolana lub łokcia), u których dotychczasowy schemat leczenia rany przewlekłej nie dawał oczekiwanych rezultatów (np. stopa cukrzycowa, owrzodzenia podudzi); łącznie ok. 210 osób.

Planowanymi interwencjami będą: akcja informacyjna, działania edukacyjne oraz działania z zakresu rehabilitacji leczniczej ukierunkowane na poprawę stanu miejscowego ran przewlekłych. Wnioskodawca zaznaczył, że interwencja polega

na zastosowaniu skojarzonej terapii fizykanej (światło czerwone, światło UV, tlenoterapia, ozonoterapia, pole magnetyczne), realizowanej z użyciem technologii Laserobaria.

W projekcie odniesiono się do wymagań dotyczących personelu, wyposażenia oraz warunków lokalowych, które muszą zostać spełnione w celu realizacji PPZ. Wskazano, że realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu ofert. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

W zależności od scenariusza, przedstawiono następujące koszty całkowite: minimalny – 434 000 zł (217 000 zł/rok), bazowy – 854 000 zł (427 000 zł/rok). Program ma zostać sfinansowany z budżetu Powiatu Wągrowieckiego (50%) oraz budżetów Gmin Powiatu Wągrowieckiego (50%).

Projekty programów polityki zdrowotnej z zakresu leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem innowacyjnego urządzenia Laserobaria 2.0_S, przesłane przez Powiat Wągrowiecki, były już dwukrotnie prezentowane na posiedzeniach Rady Przejrzystości. Oba projekty uzyskały opinie negatywne, zarówno Rady Przejrzystości, jak i Prezesa Agencji (nr 67/2025 z dnia 24 lipca 2025 r. oraz nr 116/2025 z dnia 19 grudnia 2025 r.). Główną przesłanką dla negatywnych opinii stanowił fakt, że leczenie ran przewlekłych metodą laserobarii nie znajduje potwierdzenia w rekomendacjach klinicznych. Ponadto, z uwagi na innowacyjność ocenianej interwencji, a także krótki czas stosowania w warunkach polskich istnieje ograniczona liczba dowodów naukowych niskiej jakości wskazujących na skuteczność terapii addytywnych (wspomagających w leczeniu niegojących się ran).

Duża część towarzystw naukowych podkreśla, że brakuje silnych dowodów potwierdzających skuteczność terapii addytywnych (wspomagających) w leczeniu niegojących się ran (WC 2025a, WC2025b, WC 2025c, WC 2025e, ESVS 2022, ACP 2015). Spośród wszystkich zabiegów fizykoterapeutycznych, które obejmuje Laserobaria 2.0_S, zalecaną terapią wspomagającą leczenie niegojących się ran stanowi tlenoterapia hiperbaryczna – HBOT (SNLR 2024, PTLR 2022, WHS 2024a, WHS 2024c, ADS/DFA 2023, IWGDF 2023). Ozonoterapia (PTLR 2022, ADS/DFA 2023, IDF 2023) oraz elektromagnetoterapia (PTLR 2022, ADS/DFA 2023) nie są zalecanymi terapiami wspomagającymi leczenie owrzodzeń w przebiegu zespołu stopy cukrzycowej. PTLO (2025) podkreśla, że laserobaria powinna być stosowana jako element terapii zintegrowanej, zgodnej z modelem TIME, a nie jako monoterapia.

Ponadto, w odniesieniu do ostatniej wersji przedmiotowego programu, w opinii Prezesa Agencji nr 116/2025 z dnia 19 grudnia 2025 r. znalazło się szereg uwag, które w obecnie ocenianym projekcie zostały uwzględnione tylko częściowo bądź nie zostały uwzględnione. Wśród najważniejszych aktualnych uwag należy wymienić m.in.: w celu głównym i szczegółowych nie wskazano uzasadnienia dla

przyjętych wartości docelowych, mierniki efektywności zostały zaprojektowane w większości nieprawidłowo, nie przedstawiono miernika efektywności dla celu głównego, odniesiono się do konieczności przeprowadzenia szkolenia w zakresie użycia urządzenia Laserobaria, jednak nie uwzględniono takiej interwencji w programie. Ponadto, nie określono jednoznacznie sposobu przekazania uczestników wymagających dalszej diagnostyki lub leczenia do świadczeń finansowanych przez NFZ oraz zakresu odpowiedzialności realizatora w tym procesie, nie wyodrębniono kosztów monitorowania.

NFZ aktualnie nie finansuje leczenia ran przewlekłych z wykorzystaniem metody laserobarii. Procedura taka (jako produkt wyodrębniony) nie znajduje się w obowiązującym katalogu świadczeń gwarantowanych dla osób ubezpieczonych w NFZ. Dotychczas tylko kilka ośrodków w Polsce zostało wyposażonych w próbną wersję produktu laserobarii i obecnie prowadzone są dalsze badania nad skutecznością tego urządzenia w zakresie wspomagania procesu leczenia ran przewlekłych.

Główne argumenty decyzji

- *Brak dowodów naukowych na skuteczność metody.*
- *Brak wytycznych klinicznych wskazujących zasadność stosowania tej metody lub tej kombinacji metod.*
- *Nieuwzględnienie lub tylko częściowe uwzględnienie uwag sporządzonych podczas poprzedniej oceny przedmiotowego projektu.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.42.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2027-2028”, realizowany przez Powiat Wągrowiecki, data ukończenia: sierpień 2026 r. oraz raportu nr OT.431.56.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2025-2026” z lipca 2025 r. oraz raportu nr DPPZ.431.28.2025 „Program polityki zdrowotnej w zakresie leczenia ran przewlekłych metodą laserobarii dla mieszkańców Powiatu Wągrowieckiego na lata 2026-2027” z grudnia 2025 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 113/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Wińsko
na lata 2027-2031”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Wińsko na lata 2027-2031”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Celem głównym PPZ jest zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie Gminy Wińsko w latach 2027-2031.

Wskazano 1 cel szczegółowy tj. utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub zwiększenie o co najmniej 20% poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki wtórnej urazów, chorób układu nerwowego oraz chorób układu ruchu u co najmniej 70% osób z populacji docelowej w latach 2027-2031. W projekcie zaplanowano przeprowadzenie pre- i post- testu oraz załączono przykładowy test.

W projekcie zaplanowano 2 mierniki efektywności, tj.:

- 1. Odsetek osób, u których doszło do poprawy stanu zdrowia w postaci zmniejszenia dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) w związku z otrzymanymi w programie świadczeniami.*
- 2. Odsetek osób, u których w post-teście odnotowano taki sam wysoki poziom wiedzy względem pre-testu (min. 80% poprawnych odpowiedzi) lub wzrost poziomu wiedzy o co najmniej 20% względem pre-testu.*

Miernik 1 odnosi się do celu głównego, miernik 2 do celu szczegółowego. Cel główny, cel szczegółowy oraz mierniki efektywności zostały zaplanowane w sposób prawidłowy.

Populację stanowią: mieszkańcy Gminy Wińsko, którzy ukończyli 18 rok życia, z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby układu nerwowego (ok. 975, tj. 195 rocznie populacji docelowej).

Interwencje obejmują: konsultację terapeutyczną, indywidualny plan rehabilitacyjny obejmujący cykl zabiegów fizjoterapeutycznych (10-dniowy cykl, ok. 4-5 zabiegów dziennie), działania edukacyjne (1 spotkanie 45 minutowe).

Budżet programu 1 491 875 zł / 298 375 zł rocznie). Źródła finansowania: Gmina Wińsko przy ewentualnym dofinansowaniu ze środków Urzędu Marszałkowskiego Woj. Dolnośląskiego lub Dolnośląskiego NFZ.

W projekcie wskazano szczegółowe koszty jednostkowe oraz koszty realizacji programu w poszczególnych latach: koszty jednostkowe: 1450 zł/osobę – koszt uczestnictwa w programie, 15 625 zł/rok – koszt realizacji ewaluacji i monitorowania oraz koszt realizacji akcji informacyjnej wraz z koordynacją programu. Podkreślono, że koszty przewidziane na realizację programu mogą podlegać modyfikacjom w poszczególnych latach realizacji w zależności od możliwości finansowych Gminy Wińsko.

W Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 wśród rekomendowanych kierunków działań dla Województwa Dolnośląskiego w zakresie rehabilitacji medycznej w warunkach ambulatoryjnych wskazano na wyrównanie dostępności do świadczeń rehabilitacyjnych jak najbliżej miejsca zamieszkania pacjenta. Podkreślono, że ta dostępność w ramach świadczeń kontraktowych w ramach NFZ jest znikoma. Zgodnie z informacjami zawartymi w Mapie Potrzeb Zdrowotnych na lata 2027-2031 dla Woj. Dolnośląskiego podkreślono, że najważniejszym zadaniem jest wzmocnienie ambulatoryjnej opieki rehabilitacyjnej, w celu odciążenia leczenia szpitalnego.

Rekomendacje kliniczne i finansowe:

Eksperti są zgodni, że istnieje zasadność finansowania PPZ z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych, dzieci i młodzieży. PPZ powinny być poprzedzone analizą potrzeb zdrowotnych danej populacji. Jeden z ekspertów wskazuje, że w pierwszej kolejności powinna być oferowana pełna diagnostyka funkcjonalna, a następnie kinezyterapia oraz fizykoterapia z masażem.

Eksperti nie są zgodni co do optymalnego czasu realizacji PPZ. Wskazany okres waha się od 6 tygodni przez 2 lata do 5 lat.

Uwaga Rady

Wnioskodawca nie przedstawił uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej w celu głównym i szczegółowym.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.44.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców Gminy Wińsko na lata 2027-2031”, realizowany przez Gminę Wińsko, data ukończenia: czerwiec 2026 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 114/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie
małopolskim”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Województwo Małopolskie: „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”.

Planowany okres wdrożenia i realizacji PPZ – lata 2026-2030. Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 4 904 080 zł. Koszty programu w wysokości 3 072 550 zł mają zostać sfinansowane ze środków Województwa Małopolskiego, a pozostałe środki pochodzić mają z budżetu powiatów współpracujących z gminami na terenie województwa małopolskiego, które mają partycypować w 50% bezpośrednich kosztów realizacji wariantu 1 PPZ.

Celem głównym programu jest: zmniejszenie zapadalności na zakażenie RSV wśród osób z populacji docelowej w okresie realizacji programu. Projekt PPZ zawiera także 2 cele szczegółowe.

Populację docelową programu stanowić będą dzieci w wieku do lat 2 zamieszkałe na terenie województwa małopolskiego. Wnioskodawca, powołując się na dane Głównego Urzędu Statystycznego, wskazał, że liczba mieszkańców województwa małopolskiego na koniec 2025 r. liczyła ogółem 3 429 342 osoby, z czego liczba dzieci do 2 r.ż. wynosiła 51 743.

Główną interwencją zaplanowaną w ramach PPZ będzie jednokrotne uodpornienie bierne przeciwciałem monoklonalnym, którego celem jest zapobieganie zakażeniom dolnych dróg oddechowych wywołanych przez RSV

u dzieci do lat 2, w trakcie pierwszego i/lub drugiego dla nich sezonu zakażeń RSV. Przed podaniem przeciwciał monoklonalnych przeprowadzone zostanie lekarskie badanie kwalifikujące. W projekcie wyróżniono cztery warianty populacji docelowej. Wskazano, że podział populacji na poszczególne warianty wynika ze zróżnicowanych potrzeb zdrowotnych dzieci wymagających wsparcia. Podczas kwalifikacji do uodpornienia lekarz lub pielęgniarka przeprowadzi edukację rodzica/opiekuna prawnego pacjenta. Edukacja obejmować będzie przekazanie informacji (ustnych oraz w formie papierowej lub źródeł elektronicznych materiałów edukacyjnych) na temat czasu trwania odporności, korzyści z uodpornienia, objawów i przebiegu choroby.

Zakończenie udziału w programie nastąpi dla uczestnika po uodpornieniu jedną dawką produktu oraz po przeprowadzeniu działań edukacyjnych. Uczestnik ma prawo rezygnacji z udziału w programie w dowolnym momencie po złożeniu pisemnej rezygnacji.

W ramach programu zostanie przeprowadzona akcja informacyjna o programie i o możliwości udziału w nim.

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

W projekcie PPZ wnioskodawca opisał problem zdrowotny, którego dotyczy planowany PPZ. Projekt posiada cel główny oraz dwa cele szczegółowe. W ramach projektu jego autor wskazał na kryteria włączenia do projektu, a także kryteria wyłączenia z programu. W projekcie programu zaproponowano trzy mierniki efektywności. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że dotyczy on istotnego problemu zdrowotnego jakim jest syncytialny wirus oddechowy.

Zakażenia RSV mają charakter sezonowy. Do zakażenia dochodzi głównie drogą kropelkową (przez kaszel, kichanie). RSV jest jedną z głównych przyczyn hospitalizacji u niemowląt. Każde niemowlę może wymagać hospitalizacji już podczas pierwszego zakażenia RSV. Zakażenie jest szczególnie groźne w przypadku wcześniaków, u których układ oddechowy nie jest jeszcze całkowicie wykształcony. Powoduje u nich zmiany zapalne w płucach, które mogą uszkadzać rzęski w nabłonku dróg oddechowych (odpowiedzialne za usuwanie śluzu). Jeśli dojdzie do ich uszkodzenia, upośledzona zostaje drożność oskrzelików.

U niemowląt i dzieci wśród czynników ryzyka ciężkiego przebiegu zakażenia RSV wymienia się między innymi: wcześniactwo, wiek niemowlęcy (<12. m.ż.), szczególnie dzieci w pierwszych 6 m.ż., niedobory odporności czy też przewlekłe choroby płuc.

Istnieją dwa sposoby profilaktyki zakażeń RSV u niemowląt:

- *szczepienia kobiet w ciąży w celu biernej ochrony niemowląt przed RSV;*
- *podawanie przeciwciała monoklonalnego przeciw RSV.*

Konsultant Krajowy w dziedzinie epidemiologii zauważył, iż dane epidemiologiczne dotyczące zachorowań spowodowanych RSV w całej populacji, a przede wszystkim u dzieci do 2 r.ż., wskazują na istotny i narastający problem zdrowotny w kolejnych sezonach. Ekspert podkreślił również fakt intensywnego sezonowego wzrostu hospitalizacji z powodu zakażenia RSV, szczególnie wśród dzieci do lat 2. Ekspert wskazał również na zasadność objęcia immunizacją dzieci do lat 2, zwracając uwagę na fakt, iż w grupie tej występuje wysokie ryzyko zachorowań wywołanych RSV oraz powikłań i zgonów (w tym szczególnie wśród wcześniaków i noworodków). Ekspert wskazał, że podanie dzieciom gotowych przeciwciał chroniących przed zakażeniem i zachorowaniem jest pożądane i uzasadnione. Zasadne są również działania edukacyjne skierowane do rodziców (opiekunów prawnych dzieci). Kryteria założone przez wnioskodawcę w kontekście poszczególnych wariantów populacji docelowej, jak i planowana interwencja w postaci immunizacji biernej znajdują odzwierciedlenie w wytycznych towarzystw naukowych. Stosowanie przeciwciał monoklonalnych w ramach uodporniania biernego noworodków, niemowląt i małych dzieci poniżej 2 r.ż. przeciwko zakażeniom RSV jest zalecane w ramach PSO na 2026 r.

W uzasadnieniu potrzeby wdrożenia i realizacji programu wnioskodawca wskazał między innymi, że: RSV jest jednym z głównych czynników wywołujących ciężkie zakażenia dróg oddechowych u niemowląt, generującym znaczną liczbę hospitalizacji oraz obciążenie systemu opieki zdrowotnej, największe ryzyko ciężkiego przebiegu dotyczy niemowląt w pierwszym roku życia, niezależnie od wcześniactwa czy chorób współistniejących, brak skutecznego leczenia swoistego sprawia, że profilaktyka jest najbardziej efektywnym narzędziem ograniczania ciężkich zachorowań.

Uwagi Rady

- *Nie oszacowano liczebności populacji dzieci kwalifikującej się do udziału w PPZ w kontekście założonych kryteriów włączenia.*
- *PPZ przewiduje działania edukacyjne skierowane do rodziców (opiekunów dzieci), nie uwzględniono tego jednak w populacji docelowej, ani w kryteriach włączenia/wyłączenia.*
- *W zakresie wariantu 1 populacji docelowej - nie obejmuje wszystkich zalecanych przez towarzystwa naukowe wyjątków od standardowego stosowania tylko jednej z metod profilaktyki biernej zakażeń RSV (szczepień matki lub przeciwciał).*
- *W opisie wariantu 2 populacji docelowej prawdopodobnie jest błąd, gdyż zakłada on możliwość udziału w PPZ ramach wariantu 2 dla osób, które nie*

mogły skorzystać ze świadczeń w ramach wariantu 2 (prawdopodobnie chodzi o wariant 1).

- *Nie doprecyzowano czynników ryzyka, które stanowiąć będą kryterium udziału w odniesieniu do wariantu 4 (przykładowo zgodnie z rekomendacjami: wcześniactwo, choroby układu oddechowego, niedobory odporności).*
- *Biorąc pod uwagę stopień złożoności zasad uczestnictwa w poszczególnych wariantach, kryteria włączenia i wyłączenia z udziału w programie nie zostały opisane wystarczająco dokładnie.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.48.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim”, realizowany przez Województwo Małopolskie, data ukończenia: sierpień 2026 oraz raportem nr: DPPZ.451.11.2026 dot. projektu pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie profilaktyki zakażeń RSV wśród dzieci do lat 2 w województwie małopolskim” z kwietnia 2026 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 115/2026 z dnia 10 sierpnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
cenobamat we wskazaniu pozarejestacyjnym dot. leczenia
encefalopatii padaczkowych u dzieci**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną cenobamat, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. terapia dodana po co najmniej trzech nieudanych próbach leczenia u pacjentów pediatrycznych z encefalopatiami padaczkowymi pod postacią zespołu Lennox-Gastauta, Zespołu Dravet, zespołu Westa i innych rzadkich genetycznie uwarunkowanych encefalopatii padaczkowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Cenobamat jest związkiem drobnocząsteczkowym o podwójnym mechanizmie działania. Cenobamat jest pozytywnym modulatorem allosterycznym podtypów receptora jonotropowego kwasu γ -aminomasłowego (GABAA), który nie wiąże się do miejsca wiązania benzodiazepin. Wykazano również, że cenobamat powoduje zahamowanie powtarzalnych wyładowań neuronów poprzez nasilenie inaktywacji kanałów sodowych i hamowanie składowej stałej prądu kationów sodowych. Dokładny mechanizm działania, dzięki któremu cenobamat wywiera efekt terapeutyczny u pacjentów z napadami ogniskowymi, jest nieznan

Zgodnie z odpowiednią ChPL produkt leczniczy Ontozry jest wskazany do stosowania w leczeniu wspomagającym napadów ogniskowych ulegających albo nieulegających wtórnemu uogólnieniu u pacjentów dorosłych z padaczką, u których nie osiągnięto dostatecznej kontroli choroby pomimo zastosowania co najmniej dwóch przeciwpadaczkowych produktów leczniczych w przeszłości.

W ChPL Ontozry wskazano, iż nie określono dotychczas bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności produktu leczniczego Ontozry u dzieci w wieku

od 0 miesięcy do 18 lat. Dodatkowo odnaleziono informację o trwającym planie badań pediatrycznych dla produktu leczniczego cenobamat. Planowana data zakończenia planu badań pediatrycznych: do stycznia 2034 roku.

Dowody naukowe

Cenobamat może stanowić skuteczną opcję terapeutyczną u dzieci i młodzieży z padaczką lekooporną, zapewniając istotną redukcję częstości napadów porównywalną z obserwowaną u dorosłych. Skuteczność leczenia różni się jednak w zależności od zespołu padaczkowego, a stosowanie leku wymaga indywidualizacji dawkowania, zwłaszcza u młodszych dzieci oraz monitorowania działań niepożądanych, w tym objawów psychiatrycznych. Szczególnie korzystne wyniki obserwowano w padaczce związanej z wariantami SCN8A, natomiast wyniki uzyskane u dzieci z zespołem Dravet były niejednoznaczne. Dostępne dane sugerują również możliwość uzyskania korzyści wykraczających poza kontrolę napadów, obejmujących poprawę funkcji poznawczych, zachowania i jakości życia.

Odnaleziono 6 wytycznych i konsensusów ekspertów (opublikowanych w ciągu ostatnich pięciu lat) dotyczących leczenia pacjentów pediatrycznych z encefalopatiami padaczkowymi, w tym zespołem Lennox-Gastauta (LGS), zespołem Dravet oraz zespołem Westa/ISS (ang. infantile spasms syndrome). Wytyczne, w których przedstawiono specyficzne zalecenia dla poszczególnych zespołów obejmowały: LGS (Auvin 2024, NICE 2026, PTN 2022), zespół Dravet (Wirrell 2022, Cardenal-Muñoz 2021, NICE 2026, PTN 2022) oraz ISS/zespół Westa (IGCCGSSN 2022, NICE 2026, PTN 2022), natomiast dokumenty PTN 2022 i NICE 2026 zawierają dodatkowo ogólne zalecenia dotyczące postępowania w padaczce lekoopornej.

W żadnym z odnalezionych dokumentów nie zidentyfikowano rekomendacji dotyczących stosowania cenobamatu w ocenianych wskazaniach. Cenobamat jest wymieniany w wytycznych PTN 2022 oraz NICE 2026 jako opcja leczenia napadów ogniskowych zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem i nie jest omawiany w kontekście LGS, zespołu Dravet ani zespołu Westa. W wytycznych Auvin 2024 został wymieniony wśród leków o szerokim spektrum działania niezarejestrowanych w LGS, przy jednoczesnym podkreśleniu braku swoistych dowodów klinicznych potwierdzających jego skuteczność w tym zespole.

W przypadku nieskuteczności kolejnych linii farmakoterapii wytyczne zalecają stosowanie dalszych leków przeciwpadaczkowych o udowodnionej skuteczności w danym zespole, ograniczanie nadmiernej politerapii oraz wczesne rozważenie metod nefarmakologicznych, przede wszystkim diety ketogennej, leczenia operacyjnego, stymulacji nerwu błędnego (VNS), a w wybranych przypadkach także głębokiej stymulacji mózgu (DBS) i kalozotomii (PTN 2022, NICE 2026, IGCCGSSN 2022).

W zespole Lennox-Gastaut kolejne linie leczenia obejmują m.in. lamotryginę, rufinamid, klobazam, kannabidiol, felbamat, fenfluraminę i topiramát, natomiast w przypadku utrzymywania się napadów rekomendowane jest również zastosowanie diety ketogennej oraz innych metod nefarmakologicznych (PTN 2022, NICE 2026, Auvin 2024). Wytyczne NICE 2026 wskazują dodatkowo na leki, które mogą nasilać napady u pacjentów z LGS, tj. karbamazepinę, gabapentynę, lakozamid, lamotryginę, okskarbazepinę, fenobarbital, pregabalinę, tiagabinę i wigabatrynę (NICE 2026).

W zespole Dravet po niepowodzeniu wcześniejszych linii leczenia rekomendowane m.in. stiripentol, klobazam, kannabidiol, fenfluramina, topiramát, lewetyracetam oraz dieta ketogenna (PTN 2022, NICE 2026, Wirrell 2022, Cardenal-Muñoz 2021). W przypadku nieskuteczności tych metod można rozważyć zastosowanie bromku potasu. Wytyczne zwracają także uwagę na konieczność unikania wybranych leków, zwłaszcza blokujących kanały sodowe, które mogą nasilać napady, m.in. karbamazepiny, okskarbazepiny, lamotryginy i lakozamidu (NICE 2026, Cardenal-Muñoz 2021).

W zespole Westa/ISS po niepowodzeniu leczenia pierwszej linii (ACTH, steroidy, wigabatryna) wytyczne rekomendują dalsze leczenie farmakologiczne, obejmujące m.in. walproinian, topiramát, lewetyracetam, nitrazepam, dietę ketogenną, a w części dokumentów także zonisamid, sulthiam i benzodiazepiny (PTN 2022, NICE 2026, IGCCGSSN 2022). U pacjentów opornych na leczenie zaleca się również wczesne rozważenie kwalifikacji do leczenia operacyjnego.

Dodatkowe koszty roczne w przypadku refundacji terapii wyniosłyby od kilkuset tysięcy PLN do ponad miliona PLN.

Główne argumenty decyzji

- Brak wysokiej jakości dowodów naukowych dokumentujących efektywność kliniczną leku we wnioskowanym wskazaniu i populacji – badania kliniczne w trakcie.
- Brak zaleceń i wytycznych towarzystw naukowych.

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: DRTM.415.4.2026 „Cenobamat we wskazaniu: terapia dodana po co najmniej trzech nieudanych próbach leczenia u pacjentów pediatrycznych z encefalopatiami padaczkowymi pod postacią zespołu Lennox-Gastaut, Zespołu Dravet, zespołu Westa i innych rzadkich genetycznie uwarunkowanych encefalopatii padaczkowych”; data ukończenia: 6 sierpnia 2026 r.