



DOR.001.35.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 37/2026
w dniu 7 września 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 10:06.

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

1. Artur Bachta
2. Robert Bryzek
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Andrzej Dąbrowski
5. Maciej Karaszewski
6. Marcin Lipowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Zbigniew Siudak
9. Anna Socha-Banasiak

Członkowie Rady nieobecni podczas posiedzenia:

1. Elżbieta Lanc

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowisk w sprawie oceny leków Phesgo (trastuzumabum + pertuzumabum) i Perjeta (pertuzumabum) w ramach programu lekowego B.9.FM „Leczenie chorych na raka piersi – trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem (leczenie adjuwantowe)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Minjuvi (tafasitamabum) w ramach programu lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Ultomiris (ravulizumabum) w ramach programu lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro DelightBerry, Delight Tropical

we wskazaniu: fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Aspaveli (pegcetacoplanum) w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniastorozplelowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5).
7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Opzelura (ruksolitynib) we wskazaniu: bielactwo nabyte.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program kompleksowej zdalnej opieki dla kobiet w trzecim trymestrze ciąży” (woj. dolnośląskie).
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „»Zdrowszy Kołobrzeg« - program w zakresie profilaktyki depresji u dzieci i młodzieży w mieście Kołobrzeg”.
10. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji substancji czynnej ruriotokog alfa pegol we wskazaniu pozarejestrowanym: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10: D66) w ramach programu lekowego B.15.
11. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Anna Socha-Banasiak zadeklarowała konflikt interesów odnoszący się do leku PKU GMPro, jednak Rada podjęła decyzję o niezasadności wyłączenia jej z głosowania w ramach pkt. 5 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 9 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leków Phesgo (trastuzumabum + pertuzumabum) i Perjeta (pertuzumabum).

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Anna Socha-Banasiak.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny oraz stanowiska przedstawiciela pacjentów.

Projekty stanowisk Rady dla obydwu leków przygotowali Andrzej Dąbrowski i Anna Socha-Banasiak.

Rada doprecyzowała treść uchwały dot. leku Phesgo, w czym udział wzięli: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Anna Socha-Banasiak.

Prowadzący zarządził głosowanie dot. leku Phesgo, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” i 1 głosem „przeciw” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Andrzej Dąbrowski i Maciej Karaszewski doprecyzowali treść uchwały dot. leku Perjeta.

Prowadzący zarządził głosowanie dot. leku Perjeta, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” i 1 głosem „przeciw” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dotyczący leku Minjuvi (tafasitamabum).

Głos zabrali Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Zbigniew Siudak i Ewa Obuchowicz.

Treść uchwały doprecyzowali Marcin Lipowski i Maciej Karaszewski.

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

Ad 4. Analitik Agencji zaprezentował dane o leku Ultomiris (ravulizumabum).

Rada wysłuchała stanowiska eksperta z dziedziny medycyny, który odpowiadał także na pytania członków Rady.

W dyskusji Rady udział wzięli: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Ewa Obuchowicz i Zbigniew Siudak.

Treść uchwały doprecyzowali: Maciej Karaszewski, Ewa Obuchowicz i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 5. Analitik Agencji omówił kluczowe informacje dot. środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPro.

Głos zabrał Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Anna Czerniecka-Kubicka i Marcin Lipowski.

W dyskusji Rady, w wyniku której Rada doprecyzowała treść uchwały, uczestniczyli: Anna Socha-Banasiak, Andrzej Dąbrowski, Marcin Lipowski, Maciej Karaszewski i Anna Czerniecka-Kubicka.

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

Ad 6. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. leku Aspaveli (pegcetacoplanum).

Głos zabrali Marcin Lipowski i Maciej Karaszewski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Marcin Lipowski i Anna Czerniecka-Kubicka.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Marcin Lipowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji omówił dane odnoszące się do produktu leczniczego Opzelura (ruksolitynib).

Projekt stanowiska Rady przygotował i przedstawił Artur Bachta.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Artur Bachta.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze założenia programu polityki zdrowotnej woj. dolnośląskiego z zakresu opieki okołoporodowej.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Robert Bryzek.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Posiedzenie opuściła Anna Czerniecka-Kubicka.

Ad 9. Analitik Agencji zaprezentował kluczowe informacje o programie polityki zdrowotnej dot. profilaktyki depresji w mieście Kołobrzeg.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Robert Bryzek.

Głos zabrali: Maciej Karaszewski, Andrzej Dąbrowski i Robert Bryzek.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 10. Anna Socha-Banasiak przedstawiła projekt opinii Rady dot. substancji czynnej rurioktokog alfa pegol we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Rada, 8 głosami „za”, podjęła uchwałę o zasadności zwołania posiedzenia pełnego składu na potrzeby oceny 11 wniosków refundacyjnych dla leku Keytruda.

Ad 11. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 14:53.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 126/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Phesgo (trastuzumabum + pertuzumabum)
w ramach programu lekowego B.9.FM „Leczenie chorych
na raka piersi – trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem
(leczenie adjuwantowe)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Phesgo (trastuzumabum + pertuzumabum), roztwór do wstrzykiwań, 600 mg + 1200 mg, 1 fiol., GTIN: 07613326036023,*
- *Phesgo (trastuzumabum + pertuzumabum), roztwór do wstrzykiwań, 600 mg + 600 mg, 1 fiol., GTIN: 07613326036191,*

w ramach programu lekowego B.9.FM „Leczenie chorych na raka piersi – trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem (leczenie adjuwantowe)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem obniżenia kosztu terapii i zmodyfikowania zapisów programu lekowego.

Rada Przejrzystości zgłasza następujące uwagi do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka:

Phesgo powinno być refundowane tylko wtedy, gdy po uwzględnieniu RSS rzeczywisty koszt całej terapii nie jest wyższy od najtańszej równoważnej terapii P+T, podawanej oddzielnie.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- *precyzyjne zdefiniowanie zajęcia węzłów chłonnych jako obecności co najmniej jednego makroprzerzutu >2 mm;*
- *wykluczenie pacjentów z pN1mi i pN0(i+);*
- *wyłączenie wskazania podwójnej terapii anty HER2 u pacjentów, u których w materiale pooperacyjnym uzyskana jest całkowita odpowiedź patologiczna definiowana jako tpCR (ypT0/is N0).*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Phesgo nie jest nowym lekiem w programie B.9.FM. Nowością nie jest ani postać podskórna (SC), ani dawkowanie, lecz rozszerzenie etapu leczenia, na którym

można je stosować. Rozszerzenie dotyczy HER2-dodatniego raka piersi z wysokim ryzykiem wznowy, zdefiniowanym jako obecność zajętego węzła chłonnego.

W aktualnym programie B.9.FM. (od 04.2026) Phesgo, czyli stałe połączenie pertuzumabu + trastuzumabu SC, jest już finansowane w dwóch zasadniczych sytuacjach: w leczeniu neoadjuwantowym wczesnego HER2+ raka piersi oraz w I linii leczenia przerzutowego/miejscowo zaawansowanego HER2+ raka piersi. Aktualny program dopuszcza w terapii neoadjuwantowej pertuzumab + trastuzumab „podawane niezależnie lub w formie produktu leczniczego złożonego... do podawania podskórnego”. Tak samo w chorobie zaawansowanej już obecnie można stosować P+T jako oddzielne leki lub preparat złożony SC.

Kluczowa zmiana dotyczy leczenia adjuwantowego (po operacji). W obecnym programie: po neoadjuwantowym P+T/Phesgo i operacji zapis mówi: „Po zabiegu operacyjnym stosuje się leczenie uzupełniające trastuzumabem” i łączny czas podawania trastuzumabu wynosi maksymalnie 12 miesięcy/18 podań. Wg projektu programu lekowego, po zabiegu będzie można kontynuować podwójną blokadę P+T, zarówno jako dwa leki w postaci dożylniej (IV), jak i jako Phesgo - lek w postaci podskórnej (SC).

Może to spowodować kilkakrotny wzrost zużycia Phesgo/pertuzumabu. Dodatkowo pojawia się grupa pN+ po pierwotnej operacji, która dotąd adjuwantowego pertuzumabu w ogóle nie dostawała.

Dowody naukowe

Dowody naukowe opierają się o trzy badania kliniczne: APHINITY, FeDeriCa i PHranceSCa. APHINITY wskazuje, że pertuzumab dodany do trastuzumabu adjuwantowo daje korzyść u N+. FeDeriCa wskazuje, że Phesgo SC daje co najmniej taką ekspozycję farmakokinetyczną jak P+T IV; pCR, bezpieczeństwo i późniejsze wyniki kliniczne są podobne. PHranceSCa potwierdza, że SC jest preferowane przez chorych i dobrze tolerowane, także w okresie adjuwantowym. Rozszerzenie samego pertuzumabu na określoną populację adjuwantową ma różną siłę dowodów: dla pN+ podstawy są mocne (APHINITY), a dla cN+/pCR znacznie bardziej pośrednie. Nie udowodniono braku niższości w zakresie przeżywalności (survival non-inferiority) Phesgo vs oddzielnie podawane dożylnie P+T. Nie udowodniono bezpośrednio konieczności dalszego P po operacji u cN+/pCR – dowody naukowe mają charakter pośredni.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono jedno wytyczne krajowe (PTOK 2020) oraz siedem zagranicznych (NCCN 2025/2026, ESMO 2024, NICE 2025, SEOM-GEICAM-SOLTI 2025, AGO 2025, EUSOMA-SIOG 2021, ASCO 2020). Wytyczne są spójne i wskazują na zasadność stosowania pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem w leczeniu okołoperacyjnym pacjentów z HER2-dodatnim wczesnym rakiem piersi obciążonych wysokim ryzykiem nawrotu, szczególnie w przypadku zajęcia

regionalnych węzłów chłonnych. Wytyczne ASCO 2020 wskazują, że trastuzumab w skojarzeniu z chemioterapią jest zalecany u chorych z HER2-dodatnim rakiem piersi z zajęciem węzłów chłonnych oraz u chorych bez zajęcia węzłów chłonnych z guzem >1 cm, a dodanie rocznego leczenia adjuwantowego pertuzumabem do schematu opartego na trastuzumabie można rozważyć szczególnie u pacjentów z zajęciem węzłów chłonnych.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie Phesgo (PHE) w miejsce TRAS jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania PHE vs TRAS wyniósł 376 tys. zł/QALY w wariancie bez RSS. Oszacowany ICUR dla porównania PHE vs TRAS wyniósł [REDACTED] w wariancie z RSS.

Całkowite wydatki inkrementalne budżetu NFZ w wariancie prawdopodobnym wyniosą [REDACTED] oraz 117,6 (90,6-151,1) mln zł w I roku i 231,6 (187,1-260,5) mln zł w II roku refundacji (bez RSS). Największy przyrost kosztów spowoduje refundacja Phesgo. W wariancie z RSS będzie [REDACTED], odpowiednio w I i II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

Rekomendacje pozytywne (Medicinradets 2026: Perjeta) oraz rekomendacje wykazujące dodatkową korzyść kliniczną (G-BA 2023: Phesgo i Perjeta) zalecają stosowanie skojarzenia pertuzumabu z trastuzumabem w leczeniu adjuwantowym, wczesnego raka piersi HER2-dodatniego z wysokim ryzykiem nawrotu, jednak wskazują na niewielką dodatkową korzyść (G-BA 2023) oraz niepewności dotyczące działań niepożądanych oraz rzeczywistego wpływu na przeżywalność (Medicinradets 2026).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo zarówno dla Phesgo (SMC 2021) i Perjeta (NICE 2019, SMC 2020) ograniczenie odnosi się do stosowania wnioskowanych technologii u pacjentów z zajęciem węzłów chłonnych. Rekomendacja pozytywna warunkowo NICE 2019 dla Perjeta wskazuje na niepewności dotyczące dowodów skuteczności klinicznej i w związku z tym szacunków efektywności kosztowej.

Rekomendacje negatywne dla Phesgo (NCPE 2021, HAS 2021) i Perjeta (NCPE 2019, HAS 2019, PBAC 2018/2019 oraz CDA-AMC 2018) związane są z niepewnościami dotyczącymi istnienia klinicznie istotnych korzyści oraz ograniczeń związanych z oszacowaniami efektywności kosztowej i opłacalnością względem innych metod leczenia.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Phesgo (pertuzumab +trastuzumab) we wskazaniu leczenie adjuwantowe wczesnego raka piersi HER2+ jest finansowany w 15 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych). [REDACTED]

Główne argumenty decyzji:

- *wyniki badań naukowych i wytyczne towarzystw wskazują na możliwe korzyści kliniczne zastosowania pertuzumab + trastuzumab w terapii adjuwantowej, szczególnie pacjentów z makroprzerzutami pN+;*
- *nie wykazano różnic w skuteczności w zależności od formy podania leku;*
- *dodatkowe wydatki z budżetu płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.4131.14.2026 i OTAD.4131.13.2026 „Wniosek o refundację leków Phesgo (pertuzumab + trastuzumab) Perjeta (pertuzumab) w skojarzeniu z trastuzumabem w ramach programu lekowego B.9.FM. »Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)«”, data ukończenia: 26 sierpnia 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 (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.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 127/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Perjeta (pertuzumabum) w ramach programu
lekowego B.9.FM „Leczenie chorych na raka piersi – trastuzumab w
skojarzeniu z pertuzumabem (leczenie adjuwantowe)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Perjeta (pertuzumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 420 mg (30 mg/ml), 1 fiol., GTIN: 05902768001006, w ramach programu lekowego B.9.FM „Leczenie chorych na raka piersi – trastuzumab w skojarzeniu z pertuzumabem (leczenie adjuwantowe)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem zmodyfikowania zapisów programu lekowego oraz pogłębienia RSS i zobowiązania się wnioskodawcy, że w momencie dostępności na polskim rynku biopodobnego leku Perjeta, koszt terapii nie będzie wyższy od terapii z zastosowaniem leku biopodobnego.

Rada zgłasza następujące uwagi do projektu programu lekowego:

- *precyzyjne zdefiniowanie zajęcia węzłów chłonnych jako obecności co najmniej jednego makroprzerzutu >2 mm;*
- *wykluczenie pacjentów z pN1mi i pN0(i+);*
- *wyłączenie wskazania podwójnej terapii anty HER2 u pacjentów, u których w materiale pooperacyjnym uzyskana jest całkowita odpowiedź patologiczna definiowana jako tpCR (ypT0/is N0).*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pertuzumab jest już refundowany w ramach programu lekowego B.9.FM. W projekcie nowego programu lekowego nie zmienia się dawka ani zasadnicze wskazania w terapii neoadjuwantowej i chorobie przerzutowej; nowością jest wprowadzenie pertuzumabu do leczenia adjuwantowego.

W obowiązującym programie pertuzumab jest stosowany:

- *przedoperacyjnie (neoadjuwantowo) z trastuzumabem i chemioterapią — 3–6 podań;*
- *w I linii HER2+ choroby przerzutowej/miejscowo zaawansowanej z trastuzumabem i docetakselem.*

Natomiast w leczeniu uzupełniającym po operacji aktualny program B.9.FM wymienia tylko trastuzumab i trastuzumab-emtanzyna.

W projekcie programu lekowego pojawia się dodatkowa opcja – pertuzumab adjuwantowy po operacji.

Dotyczy dwóch sytuacji:

- chorych wyjściowo cN+, którzy otrzymali leczenie neoadjuwantowe i uzyskali tpCR (ypT0/is N0);
- chorych poddanych pierwotnie operacji, u których stwierdzono pN+.

Dowody naukowe

Dowody naukowe opierają się o trzy badania kliniczne: APHINITY, FeDeriCa i PHranceSCa. APHINITY wskazuje, że pertuzumab dodany do trastuzumabu adjuwantowo daje korzyść u N+. Rozszerzenie samego pertuzumabu na określoną populację adjuwantową ma różną siłę dowodów: dla pN+ podstawy są mocne, a dla cN+/pCR znacznie bardziej pośrednie. Nie udowodniono bezpośrednio konieczności dalszej terapii pertuzumabem po operacji u chorych cN+/pCR – dowody naukowe mają charakter pośredni.

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono jedno wytyczne krajowe (PTOK 2020) oraz siedem zagranicznych (NCCN 2025/2026, ESMO 2024, NICE 2025, SEOM-GEICAM-SOLTI 2025, AGO 2025, EUSOMA-SIOG 2021, ASCO 2020). Wytyczne są spójne i wskazują na zasadność stosowania pertuzumabu w skojarzeniu z trastuzumabem w leczeniu okołoperacyjnym pacjentów z HER2-dodatnim wczesnym rakiem piersi obciążonych wysokim ryzykiem nawrotu, szczególnie w przypadku zajęcia regionalnych węzłów chłonnych. Wytyczne ASCO 2020 wskazują, że trastuzumab w skojarzeniu z chemioterapią jest zalecany u chorych z HER2-dodatnim rakiem piersi z zajęciem węzłów chłonnych oraz u chorych bez zajęcia węzłów chłonnych z guzem >1 cm, a dodanie rocznego leczenia adjuwantowego pertuzumabem do schematu opartego na trastuzumabie można rozważyć szczególnie u pacjentów z zajęciem węzłów chłonnych.

Problem ekonomiczny

Brak oszacowań wnioskodawcy odnośnie rozszerzenia wskazań do Perjeta. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie Phesgo (PHE) w miejsce TRAS jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania PHE vs TRAS wyniósł 376 tys. zł/QALY w wariancie bez RSS. Oszacowany ICUR dla porównania PHE vs TRAS wyniósł [REDACTED] w wariancie z RSS.

Całkowite wydatki inkrementalne budżetu NFZ w wariancie prawdopodobnym wyniosą [REDACTED]

[REDACTED] oraz 117,6 (90,6-151,1) mln zł w I roku i 231,6 (187,1-260,5) mln zł w II roku refundacji (bez RSS).

Rekomendacje refundacyjne

Rekomendacje pozytywne (Medicinradets 2026: Perjeta) oraz rekomendacje wykazujące dodatkową korzyść kliniczną (G-BA 2023: Phesgo i Perjeta) zalecają stosowanie skojarzenia pertuzumabu z trastuzumabem w leczeniu adjuwantowym, wczesnego raka piersi HER2-dodatniego z wysokim ryzykiem nawrotu, jednak wskazują na niewielką dodatkową korzyść (G-BA 2023) oraz niepewności dotyczące działań niepożądanych oraz rzeczywistego wpływu na przeżywalność (Medicinradets 2026).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo zarówno dla Phesgo (SMC 2021) i Perjeta (NICE 2019, SMC 2020) ograniczenie odnosi się do stosowania wnioskowanych technologii u pacjentów z zajęciem węzłów chłonnych. Rekomendacja pozytywna warunkowo NICE 2019 dla Perjeta wskazuje na niepewności dotyczące dowodów skuteczności klinicznej i w związku z tym szacunków efektywności kosztowej.

Rekomendacje negatywne dla Phesgo (NCPE 2021, HAS 2021) i Perjeta (NCPE 2019, HAS 2019, PBAC 2018/2019 oraz CDA-AMC 2018) związane są z niepewnościami dotyczącymi istnienia klinicznie istotnych korzyści oraz ograniczeń związanych z oszacowaniami efektywności kosztowej i opłacalnością względem innych metod leczenia.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Phesgo (pertuzumab +trastuzumab) we wskazaniu leczenie adjuwantowe wczesnego raka piersi HER2+ jest finansowany w 15 krajach UE i EFTA (na 31 wskazanych).

Główne argumenty decyzji:

- wyniki badań naukowych i wytyczne towarzystw wskazują na możliwe korzyści kliniczne zastosowania pertuzumab + trastuzumab w terapii adjuwantowej, szczególnie pacjentów z makroprzerzutami pN+;
- nie wykazano różnic w skuteczności w zależności od formy podania leku;
- dodatkowe wydatki z budżetu płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.4131.14.2026 i OTAD.4131.13.2026 „Wniosek o refundacją leków Phesgo (pertuzumab + trastuzumab) Perjeta (pertuzumab) w skojarzeniu z trastuzumabem w ramach programu lekowego B.9.FM. »Leczenie chorych na raka piersi (ICD-10: C50)«”, data ukończenia: 26 sierpnia 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 (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.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 128/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Minjuvi (tafasitamabum) w ramach programu
lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe
(ICD-10: C82, C83, C85)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Minjuvi (tafasitamabum), proszek do sporządzania koncentratu roztworu do infuzji, 200 mg, 1 fiol. proszku, GTIN: 09088885500694, w ramach programu lekowego B.12.FM. „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Oceniane wskazanie obejmuje leczenie tafasytamabem w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem w leczeniu dorosłych pacjentów z chłoniakiem grudkowym w stopniu 1–3a, po zastosowaniu co najmniej jednej wcześniejszej linii leczenia ogólnoustrojowego, w stanie sprawności 0–2 według skali ECOG.

Produkt leczniczy Minjuvi jest wskazany w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym albo opornym na leczenie chłoniakiem grudkowym (FL, ang. follicular lymphoma) (stopnia 1–3a) po co najmniej jednej linii leczenia ogólnoustrojowego.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Minjuvi jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 1 pierwotne badanie kliniczne z randomizacją (inMIND) oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania tafasytamabu w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem w porównaniu z placebo w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem, wśród dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem grudkowym.

Wyniki porównania bezpośredniego TAFE + R² vs PLC + R² – RCT inMIND.

W populacji ITT nie potwierdzono istotnej statystycznie różnicy na korzyść interwencji lub komparatora w zakresie przeżycia całkowitego (HR=0,59 (95%CI: 0,31; 1,13). Odnotowano 15 (5,5%) zgonów wśród osób leczonych

tafasytamabem i 23 (8,4%) zgony wśród osób przyjmujących placebo. Mediana OS nie została osiągnięta w żadnym z ramion badania inMIND.

Jakość życia pacjentów była porównywalna między ramionami leczenia w badaniu inMIND na podstawie wyników wszystkich trzech kwestionariuszy. Nie zaobserwowano również zmian przekraczających progi minimalnej istotnej różnicy, w związku z tym mało prawdopodobnym jest, aby zmiany miały znaczenie kliniczne.

W populacji ITT potwierdzono istotną statystycznie różnicę na korzyść interwencji w zakresie przeżycia wolnego od progresji zarówno w ocenie badacza ($HR=0,43$ (95%CI: 0,32; 0,58) $p<0,001$), jak i IRC ($HR=0,41$ (95%CI: 0,29; 0,56) $p<0,001$). Mediana PFS w ramieniu TAFA + R² wyniosła 22,4 miesiąca (w ocenie badacza; w ocenie IRC mediana nieosiągnięta), a w ramieniu PLC + R² 13,9 miesiąca (w ocenie badacza; w ocenie IRC: 16,0 miesięcy). Wyniki porównania bezpośredniego TAFA + R² vs PLC + R² – RCT inMIND.

W populacji ITT nie potwierdzono istotnej statystycznie różnicy na korzyść interwencji lub komparatora w zakresie przeżycia całkowitego ($HR=0,59$ (95%CI: 0,31; 1,13)).

Jakość życia pacjentów była porównywalna między ramionami leczenia w badaniu inMIND na podstawie wyników wszystkich trzech kwestionariuszy. Nie zaobserwowano również zmian przekraczających progi minimalnej istotnej różnicy, w związku z tym mało prawdopodobnym jest, aby zmiany miały znaczenie kliniczne.

W populacji ITT potwierdzono istotną statystycznie różnicę na korzyść interwencji w zakresie przeżycia wolnego od progresji zarówno w ocenie badacza ($HR=0,43$ (95%CI: 0,32; 0,58) $p<0,001$), jak i IRC ($HR=0,41$ (95%CI: 0,29; 0,56) $p<0,001$). Mediana PFS w ramieniu TAFA + R² wyniosła 22,4 miesiąca (w ocenie badacza; w ocenie IRC mediana nieosiągnięta), a w ramieniu PLC + R² 13,9 miesiąca (w ocenie badacza; w ocenie IRC: 16,0 miesięcy).

Głównymi ograniczeniami analiz są: krótki okres obserwacji w badaniu inMIND (niedojrzałe wyniki OS), brak badań bezpośrednio porównujących ocenianą interwencję z większością komparatorów (konieczność przeprowadzenia porównań pośrednich), a także brak odnalezienia badań z rzeczywistej praktyki klinicznej.

Wytyczne kliniczne

Łącznie uwzględniono 3 dokumenty wytycznych klinicznych odnoszących się do postępowania terapeutycznego u pacjentów z chłoniakiem grudkowym w 2. i kolejnych liniach leczenia (PTOK 2020, ESMO 2025, NCCN v.4 2026).

Zgodnie z wytycznymi ESMO 2025 schemat tafasytamabu w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem został wymieniony jako jedna z opcji

terapeutycznych u pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem grudkowym, wcześniej nieleczonych lenalidomidem zarówno w przypadku wczesnej, jak i późnej objawowej progresji choroby, w II. i kolejnych linii leczenia (jakość dowodów: II; siła zalecenia: B).

W wytycznych NCCN 2026 schemat tafasytamabu w skojarzeniu z lenalidomidem i rytuksymabem został wymieniony wśród preferowanych schematów w II. linii leczenia dorosłych pacjentów z chłoniakiem grudkowym po wcześniejszej terapii zawierającej przeciwciało anti-CD20 (siła rekomendacji: 1).

W polskich wytycznych PTOK 2020 nie odnaleziono informacji odnoszących się do zastosowania tafasytamabu we wnioskowanym wskazaniu.

Problem ekonomiczny

Opinia pozytywna dotycząca refundacji wiązałaby się z kosztem inkrementalnym dla płatnika rzędu nawet kilkudziesięciu milionów zł rocznie.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 5 rekomendacji refundacyjnych: 2 rekomendacje pozytywne (PBAC 2025, G-BA 2025 – potwierdzono dodatkową korzyść), 1 rekomendację pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2026) oraz 2 rekomendacje negatywne.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wpływu na OS oraz jakość życia; niedojrzałe dane ze zbyt krótkim czasem obserwacji.*
- *Brak zaleceń w polskich wytycznych PTOK.*
- *Brak jednomyślności w rekomendacjach refundacyjnych w innych krajach UE.*
- *Brak refundacji w krajach UE.*
- *Wysokie koszty inkrementalne płatnika.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.4131.5.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Minjuvi (tafasytamab) we wskazaniu: zgodnym z zapisami programu lekowego B.12.FM. »Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85)«”, data ukończenia: 27 sierpnia 2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 129/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Ultomiris (ravulizumabum) w ramach programu
lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia
nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 1100 mg, 1 fiol. 11 ml, GTIN: 05391527740162,*
- *Ultomiris (ravulizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 300 mg/ml, 1 fiol. 3 ml, GTIN: 05391527740179,*

w ramach programu lekowego B.138.FM. „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Ultomiris (rawulizumab) w postaci koncentratu do sporządzania roztworu do infuzji w fiolkach 11 ml (1100 mg) i 3 ml (300 mg) we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z chorobą ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD, ang. neuromyelitis optica spectrum disorder), z obecnością przeciwciał przeciwko akwaporynie 4 (AQP4, ang. aquaporin-4), w przypadku niepowodzenia leczenia satralizumabem lub braku możliwości jego zastosowania w ramach istniejącego programu lekowego „B.138.FM Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G.36.0)”.

Rawulizumab jest przeciwciałem monoklonalnym IgG_{2/4K}, które w sposób swoisty wiąże się z białkiem C5 dopełniacza, hamując w ten sposób jego rozkład na składniki C5a (prozapalna anafilatoksyna) i C5b (podjednostka inicjująca powstanie kompleksu atakującego błonę [ang. membrane attack complex, MAC lub C5b-9] i zapobiegając wytwarzaniu C5b-9.

Oceniana technologia jest obecnie objęta refundacją w ramach grupy limitowej „1285.0, Rawulizumab”. Objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris w dodatkowym wskazaniu nie spowoduje zmian w zakresie kwalifikacji do grupy limitowej.

Choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) są rzadkimi, poważnymi schorzeniami autoimmunologicznymi ośrodkowego układu nerwowego (OUN). Surowica pacjentów z NMOSD zawiera przeciwciała klasy IgG1 skierowane przeciwko akwaporynie-4 (AQP4 Ab). Główną cechą NMOSD są rzuty zapalenia nerwu wzrokowego oraz rdzenia kręgowego, które prowadzą do nieuchronnego postępu trwałej i nieodwracalnej niepełnosprawności. Zaburzeniom widzenia często towarzyszą ciężkie zaburzenia ruchowe. Występują zaburzenia czynności jelit/pęcherza. Uszkodzeniom pnia mózgu towarzyszą nudności, wymioty i czkawka. Chorobie często towarzyszy ból, szczególnie w tułowie i dolnych częściach kończyn. Podstawowym celem leczenia jest zapobieganie nawrotom choroby prowadzącym do ślepoty, paraliżu i pogorszenia jakości życia. Charakterystyczna dla NMOSD jest wysoka śmiertelność, która wynosi obecnie od około 2-10% rocznie.

W Polsce liczba pacjentów z NMOSD jest szacowana na około od 200 do 500 osób, a liczba nowych zachorowań na około 10-40 przypadków rocznie.

Dowody naukowe

Istotnymi ograniczeniami analizy klinicznej są: nieuwzględnienie rytuksymabu i immunoglobulin jako komparatorów, ograniczona liczba dostępnych dowodów naukowych oraz brak badań zgodnych z populacją docelową programu lekowego.

Do analizy klinicznej, której celem była ocena skuteczności i bezpieczeństwa stosowania RAW w populacji dorosłych z NMOSD AQP4-IgG+ z przeciwwskazaniami do SAT, włączono jednoramienne badanie CHAMPION-NMOSD bez randomizacji porównujące RAW±IST z zewnętrzną grupą kontrolną PLC±IST z RCT PREVENT oraz jednoramienne badanie z praktyki klinicznej (Sato 2025) u chorych, u których SAT nie był skuteczny. Ponadto przedstawiono dane z trzech publikacji zawierających opisy przypadków stosowania RAW u pacjentów wcześniej leczonych SAT (Amano 2025, Jacob 2025, Takahashi 2025).

Wykazano istotne statystycznie wydłużenie czasu do wystąpienia pierwszego potwierdzonego rzutu choroby na korzyść RAW w porównaniu z zewnętrzną kohortą placebo z badania PREVENT w całej badanej populacji [HR=0,014 z 95%CI; $p<0,0001$], a także u chorych otrzymujących dodatkowo IST [HR=0,031 (95%CI: $p<0,0001$]. U żadnego pacjenta leczonego RAW nie wystąpił potwierdzony rzut choroby, natomiast w zewnętrznej kohorcie PLC rzut odnotowano u 42,6% pacjentów (27,7% pacjentów z grupy kontrolnej otrzymywało wyłącznie placebo) (Pittock 2023). W trakcie długoterminowej obserwacji (189,7 pacjentolat) u żadnego z 58 pacjentów leczonych RAW nie odnotowano potwierdzonego rzutu. U 63 % pacjentów stosujących wyjściowo leczenie immunosupresyjne zmniejszono dawkę lub zakończono stosowanie co najmniej jednego leku immunosupresyjnego (Pittock 2026).

W grupie chorych, u których SAT nie był skuteczny, podczas stosowania RAW, trwającego co najmniej 6 miesięcy, 10 z 11 pacjentów pozostało wolnych od rzutu, natomiast u jednego pacjenta rzut wystąpił po 2 miesiącach od zmiany terapii (ARR=0,09). Po 12 miesiącach leczenia wykazano istotne statystycznie zmniejszenie średniej dobowej dawki glikokortykosteroidów. U żadnego pacjenta nie odnotowano pogorszenia wyniku EDSS (Sato 2025).

Odpowiednio w fazie podstawowej oraz fazie podstawowej i LTE, zdarzenia niepożądane związane z leczeniem RAW odnotowano u 44,8% i u 46,6% pacjentów, natomiast ciężkie zdarzenia niepożądane odnotowano u 15,5% i 27,6% pacjentów. Do najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych należały: COVID-19 (24,1% vs. 48,3%), ból głowy (24,1% vs. 32,8%), zakażenie dróg moczowych (10,3% vs. 17,2%).

Wytyczne kliniczne

W leczeniu długoterminowym NMOSD AQP4-IgG+ rekomendowane są przeciwciała monoklonalne: inhibitory C5 (ekulizumab, rawulizumab), terapie anty-CD19/CD20 (inebilizumab, rytuksymab) oraz inhibitory IL-6 (satralizumab, tocilizumab) (NEMOS 2024, MENACTRIMS 2026, SNS 2025). Jako leczenie pierwszej linii wskazywane są głównie: rytuksymab, ekulizumab, rawulizumab, inebilizumab i satralizumab, bez wykazanej przewagi którejkolwiek terapii (NEMOS 2024, MENACTRIMS 2026). W przypadku niepowodzenia leczenia zaleca się zmianę na inne przeciwciała monoklonalne, najlepiej o odmiennym mechanizmie działania. Klasyczne leki immunosupresyjne (azatiopryna, mykofenolan mofetylu, doustne GKS) stanowią leczenie alternatywne (PTN 2025) lub drugiego wyboru (NEMOS 2024, SNS 2025, MENACTRIMS 2026).

Polskie wytyczne (PTN 2025) uwzględniają: ekulizumab, inebilizumab, satralizumab i rytuksymab; nie odnoszą się do rawulizumabu.

IVIg mogą być stosowane w wybranych sytuacjach klinicznych (m.in. przy przeciwwskazaniach do innych terapii lub hipogammaglobulinemii) (NEMOS 2024).

W Polsce dla pacjentów z NMOSD i obecnością przeciwciał anty-AQP4 satralizumab jest refundowany w ramach programu lekowego B.138.FM. Rytuksymab (RTX) jest dostępny w ramach Ratunkowego Dostępu do Technologii Lekowych), immunoglobuliny dostępne są w ramach programu lekowego B.67.

Problem ekonomiczny

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach: wariant I dotyczy pacjentów z niepowodzeniem leczenia SAT, których w kolejnej linii leczono RAW, natomiast wariant II dotyczy pacjentów niekwalifikujących się do leczenia SAT.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, w obu wariantach stosowanie RAW w miejsce IST [] i wiąże się z większymi efektami zdrowotnymi. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariantcie I z RSS wyniósł ok. [] PLN/QALY, a w wariantcie II - ok. [] PLN/QALY. W ramach

wszystkich analizowanych oszacowań wartość ICUR dla porównania RAW vs. IST znajdowała się powyżej progu opłacalności.

Wpływ na budżet płatnika

Wnioskodawca oszacował liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [] w I roku refundacji i [] w II roku refundacji. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Ultomiris w wariantcie podstawowym będzie wiązało się ze wzrostem wydatków NFZ o ok. [] PLN w I roku i o ok. [] PLN w II roku refundacji w wariantcie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano trzy rekomendacje pozytywne (ZIN 2025, PBAC 2024, HAS 2023b) i jedną rekomendację pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2024). Natomiast odnaleziono trzy rekomendacje negatywne (Medicinrådet 2026, G-BA 2023, HAS 2023a); jedną rekomendację mówiącą o konieczności przeprowadzenia pełnej oceny HTA (NCPE 2025), trzy informacje o braku możliwości dokonania oceny (SMC 2024, AWTTC 2023, NICE 2023). Żadna z organizacji nie analizowała populacji po niepowodzeniu leczenia satralizumabem lub braku możliwości jego zastosowania.

Główne argumenty decyzji:

- brak dowodów naukowych o dodatkowych korzyściach terapeutycznych w stosunku do satralizumabu, który jest refundowany w terapii NMOSD u pacjentów z przeciwciałami anty-AQP4;
- brak przekonujących danych świadczących o skuteczności rawulizumabu w przypadku, gdy sartalizumab nie może być stosowany;
- brak zaleceń w wytycznych PTN 2025;
- brak wytycznych międzynarodowych dotyczących sekwencji stosowania poszczególnych leków biologicznych;
- znaczny wzrost wydatków płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DOWM.4131.8.2026 „Wniosek objęcie refundacją leku Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego: B.138.FM »Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)«”, data ukończenia: 26.08.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Alexion Europe SAS).*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Alexion Europe SAS 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: Alexion Europe SAS.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 130/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia
żywnościowego PKU GMPPro Delight Berry, Delight Tropical
we wskazaniu dot. fenyloketonurii

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywnościowego:

- *PKU GMPPro Delight Berry, dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, proszek, 15 g białka, 30 saszetek po 30g, GTIN: 4016922002530,*
- *PKU GMPPro Delight Berry, dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, proszek, 20 g białka, 30 saszetek po 40g, GTIN: 4008976440536,*
- *PKU GMPPro Delight Tropical, dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, proszek, 15 g białka, 30 saszetek po 30g, GTIN: 4016922002523,*
- *PKU GMPPro Delight Tropical, dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, proszek, 20 g białka, 30 saszetek po 40g, GTIN: 4008976440512,*

we wskazaniu: fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena dotyczy objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywnościowego (śsspż): PKU GMPPro Delight we wskazaniu: fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla śsspż PKU GMPPro Delight jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym.

Fenyloketonuria (PKU) to wrodzona choroba uwarunkowana genetycznie, w przebiegu której z powodu niedoboru enzymu – hydroksylazy fenyloalaninowej (PAH) – w organizmie gromadzi się nadmiar aminokwasu fenyloalaniny (Phe). Hydroksylaza fenyloalaninowa odpowiada za przemianę Phe w tyrozynę (Tyr), a jej niedobór powoduje objawy chorobowe. Niedobór enzymu jest związany z obecnością mutacji w genie kodującym hydroksylazę fenyloalaninową. Jest

to najczęściej występujący błąd genetyczny w metabolizmie aminokwasów. Reakcja konwersji Phe w Tyr wymaga obecności kofaktora PAH – tetrahydrobiopteryny (BH4). Następstwem braku lub częściowego deficytu PAH jest zwiększone stężenie Phe we krwi i płynach ustrojowych oraz jej wielokierunkowe, neurotoksyczne działanie na ośrodkowy układ nerwowy (OUN). Przy braku wczesnej diagnozy i leczenia PKU, szczególnie w swojej klasycznej postaci z aktywnością PAH <1%, choroba powoduje wiele objawów, w tym rozwój ciężkiej niepełnosprawności intelektualnej i patologiczne objawy neurologiczne.

Częstość występowania fenyloketonurii w Polsce kształtuje się na poziomie 1:7 000–1:8 000. Ponadto, od wielu lat, dzięki systemowi badań przesiewowych noworodków finansowanemu przez Ministerstwo Zdrowia, choroba rozpoznawana jest w bardzo wczesnym okresie życia, jeszcze przed wystąpieniem objawów. Chorzy leczeni systematycznie od pierwszych dni życia i pozostający pod szczegółową kontrolą metaboliczną osiągają prawidłowe parametry rozwoju fizycznego i intelektualnego, choć mogą wystąpić u nich deficyty neuropsychologiczne. Długoterminowe skutki diety ubogofenyloalaninowej nie są jeszcze w pełni poznane i wymagają dalszych badań. Osoby pozostające poza wielospecjalistyczną kontrolą, w tym dietetyczną, są narażone na niedobory żywieniowe. Nieleczeni chorzy często cierpią na poważne niepełnosprawności, co może prowadzić do konieczności opieki instytucjonalnej oraz skrócenia długości życia.

W warunkach polskich technologiami alternatywnymi dla ocenianej interwencji są refundowane preparaty białkozastępcze stosowane w leczeniu dietetycznym fenyloketonurii, obejmujące zarówno preparaty pochodzenia naturalnego oparte na glikomakropeptydzie (PKU Sphere, PKU GMPPro Mix-In), jak i syntetyczne preparaty bezfenyloalaninowe – skondensowane oraz nieskondensowane.

Dowody naukowe

Obecnie nie odnaleziono wiarygodnych dowodów naukowych dotyczących rozpatrywanej interwencji.

Z uwagi na brak dostępnych danych klinicznych dotyczących ocenianej interwencji przeprowadzenie porównania skuteczności PKU GMPPro Delight względem komparatorów nie było możliwe. Dostępne dowody naukowe dla komparatorów wskazują, że zarówno preparaty oparte na glikomakropeptydzie (PKU Sphere, PKU GMPPro Mix-In), jak i preparaty aminokwasowe (L-AA) umożliwiają utrzymanie kontroli metabolicznej przejawiającej się utrzymaniem stężeń Phe w zakresach zalecanych przez wytyczne kliniczne.

Podsumowując, bezpieczeństwo ani skuteczność kliniczna nie została oceniona do tej pory w badaniach klinicznych.

Wytyczne kliniczne

Do analizy włączono 4 dokumenty wytycznych. We wszystkich dokumentach jako podstawę postępowania u pacjentów z fenyloketonurią (PKU) wskazuje się leczenie dietetyczne polegające na ograniczeniu podaży fenyloalaniny (Phe), którego celem jest utrzymanie prawidłowej kontroli metabolicznej oraz zapobieganie powikłaniom neurologicznym choroby. Podkreśla się konieczność indywidualnego dostosowania podaży naturalnego białka do tolerancji pacjenta oraz regularnego monitorowania stężenia Phe we krwi.

Zgodnie z wytycznymi amerykańskimi (ACMG 2023) oraz międzynarodowymi (GMDI 2022) rekomendowane jest utrzymywanie stężenia Phe na poziomie ≤ 360 $\mu\text{mol/L}$ przez całe życie, niezależnie od wieku. Z kolei europejskie wytyczne (ESPKU 2025) wprowadzają zróżnicowanie zależnie od grupy wiekowej. U dzieci w wieku do 12 lat zalecane jest utrzymywanie stężenia Phe w zakresie 120-360 $\mu\text{mol/L}$, natomiast u młodzieży (12-18 lat) oraz osób dorosłych (>18 lat) rekomendowany zakres wynosi 120-600 $\mu\text{mol/L}$. Jednocześnie wytyczne podkreślają potrzebę pozostawiania pacjentów pod specjalistyczną opieką oraz kontynuowania leczenia przez całe życie.

Kluczowym elementem postępowania dietetycznego u pacjentów, u których spożycie naturalnego białka jest ograniczone, jest stosowanie preparatów białkozastępczych niezawierających lub zawierających jedynie śladowe ilości Phe. Wytyczne wskazują, że preparaty białkozastępcze powinny być przyjmowane regularnie w ciągu dnia, zwykle w co najmniej trzech dawkach. W odniesieniu do preparatów opartych na glikomakropeptydzie kazeinowym (cGMP/GMP), wytyczne ESPKU 2025 wskazują, że mogą one stanowić alternatywę dla tradycyjnych preparatów aminokwasowych.

Analizowane wytyczne zgodnie wskazują, że skuteczne postępowanie dietetyczne w PKU wymaga trwałego ograniczenia podaży Phe, stosowania preparatów białkozastępczych, zapewnienia odpowiedniej podaży energii i składników odżywczych oraz systematycznego monitorowania metabolicznego i żywieniowego pacjentów, w tym oceny przestrzegania zaleceń terapeutycznych.

Problem ekonomiczny

Analizę ekonomiczną przeprowadzono w formie analizy konsekwencji kosztów (CCA), co uzasadniono brakiem dostępnych dowodów umożliwiających wykazanie różnic bądź ich braku w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa pomiędzy PKU GMP Pro Delight a uwzględnionymi komparatorami. Wnioskodawca przyjął założenie, że efekty zdrowotne wszystkich ocenianych preparatów są równoważne i porównał jedynie koszty terapii. Populację docelową stanowili pacjenci z fenyloketonurią powyżej 3. roku życia, u których możliwe jest stosowanie preparatów opartych na glikomakropeptydzie (GMP).

W analizie podstawowej miesięczny koszt terapii PKU GMPPro Delight z perspektywy NFZ oszacowano na ok. [REDACTED] na pacjenta, co oznacza koszt [REDACTED]

Przeprowadzona analiza progowa wykazała, że ceny progowe PKU GMPPro Delight, przy których koszt terapii zrównałby się z kosztem najtańszego komparatora, są [REDACTED] od wnioskowanych cen zbytu netto. Analiza wrażliwości wskazała, że [REDACTED]

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy NFZ oraz wspólnej. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy obejmujący okres od 2027 roku. Liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym oszacowano na [REDACTED] w I roku oraz [REDACTED] w II roku po objęciu refundacją.

Zgodnie z wynikami analizy podstawowej wnioskodawcy objęcie refundacją śsspż PKU GMPPro Delight spowoduje spadek wydatków NFZ o ok. 14 tys. PLN w I roku oraz o 21 tys. PLN w II roku (z perspektywy wspólnej spadek wydatków o ok. 15 tys. PLN w I roku oraz o 22 tys. PLN w II roku). W wariancie maksymalnym (perspektywa NFZ), zakładającym, że [REDACTED]

W wariancie minimalnym (perspektywa NFZ), zakładającym, że [REDACTED]

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność dotycząca liczebności populacji docelowej oraz udziałów w rynku.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną pozytywną rekomendację refundacyjną wydaną przez PBAC (Australia). Oceniany preparat PKU GMPPro Delight (30 x 40 g) uznano za terapeutycznie równoważny względem refundowanego komparatora PKU Sphere20, wskazując na porównywalny skład produktów a tym samym możliwość uzyskania zbliżonych efektów klinicznych. Zwrócono również uwagę, że wskazanie dla PKU GMPPro Delight obejmuje pacjentów od 3. roku życia, podczas gdy PKU Sphere20 może być stosowany od 4. roku życia, co potencjalnie

może zwiększyć dostępność refundowanego leczenia dietetycznego wśród pacjentów pediatrycznych.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak publikowanych dowodów naukowych;*
- *Brak danych o bezpieczeństwie ocenianej interwencji w szczególności w populacji pediatrycznej;*
- *Niepewność szacowania wpływu na budżet;*
- *Refundacja tylko w kilku krajach UE i EFTA.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTLI.4130.2.2026 „Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPro Delight we wskazaniu: fenylketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobową tolerancja fenylalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych”; data ukończenia: 25 sierpnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Nutricia 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: Nutricia Polska Sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 131/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Aspaveli (pegcetacoplanum) w ramach
programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G)
lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem
nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC MPGN)
(ICD-10: N03.5, N05.5)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Aspaveli (pegcetacoplanum), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 07350031443950,*
- *Aspaveli (pegcetacoplanum), roztwór do infuzji, 54 mg/ml, 8 fiol., GTIN: 07350031443967,*

w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC MPGN) (ICD-10: N03.5, N05.5)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Aspaveli (pegcetacoplanum) we wskazaniu: leczenie pacjentów w wieku ≥ 12 lat z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN), w skojarzeniu z inhibitorem układu renina-angiotensyna (RAS), chyba że leczenie inhibitorem RAS nie jest tolerowane lub jest przeciwwskazane, w ramach nowego programu lekowego „Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 (C3G) lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją dopełniacza (IC-MPGN). Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Produkt Aspaveli został dopuszczony do obrotu przez EMA dnia 13.12.2021 r, natomiast wnioskowane wskazanie zostało zatwierdzone dnia 15.01.2026 r. Produkt Aspaveli uzyskał status leku sierocznego.

Substancją czynną produktu leczniczego Aspaveli jest pegcetakoplan, który jest inhibitorem dopełniacza C3. Podawany jest 2 razy w tygodniu w postaci infuzji

podskórnej za pomocą strzykawkowej pompy infuzyjnej lub umieszczonego na ciele systemu do podawania leku.

Glomerulopatia C3 (C3G) oraz pierwotne błoniasto-rozplamowe kłębuszkowe zapalenie nerek z kompleksami immunologicznymi (IC-MPGN) są ultraradkimi, postępującymi chorobami nerek związanymi z nieprawidłową aktywacją układu dopełniacza. Obraz kliniczny obejmuje białkomocz, krwinkomocz i stopniowe pogarszanie funkcji nerek. Choroby mogą prowadzić do schyłkowej niewydolności nerek, dializoterapii lub przeszczepienia; nawroty po transplantacji są częste. Eksperci kliniczni oceniają, że liczba chorych z C3G wynosi od kilkudziesięciu do ok. 100 osób, a z IC-MPGN ok. 40-60 osób. Standard leczenia obejmuje terapię nefroprotekcyjną (w tym inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron), immunosupresję oraz nowe terapie ukierunkowane na hamowanie układu dopełniacza.

Za komparatory dla wnioskowanej technologii uznano leczenie standardowe/leczenie wspomagające (SoC/BSC), co odzwierciedla aktualną praktykę kliniczną i refundacyjną w Polsce.

Produkt Aspaveli był już oceniany przez AOTMiT. Rada Przejrzystości w stanowisku nr 38/2023 z 3 kwietnia 2023 r. uznała za zasadne objęcie refundacją leku Aspaveli w ramach programu lekowego B.96 dotyczącego leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH); produkt ten jest obecnie refundowany w powyższym programie.

Dowody naukowe

Ocena skuteczności klinicznej pegcetakoplanu (PEG) opiera się przede wszystkim na wynikach badania III fazy, RCT VALIANT (N=124), obejmującego pacjentów z C3G lub pierwotnym IC-MPGN w wieku ≥ 12 lat. W badaniu wykazano istotną statystycznie przewagę PEG + SoC nad placebo (PLC) + SoC w zakresie pierwszorzędnego punktu końcowego, tj. redukcji białkomoczu mierzonego wskaźnikiem UPCR po 26 tyg. leczenia (różnica względna 68,1% [95%CI: 57,3; 76,2] $p < 0,001$). Odnotowano średni spadek białkomoczu ok. 67% w grupie PEG + SoC vs 3% w grupie PLC + SoC. Korzyści obserwowano również dla kluczowych drugorzędowych punktów końcowych, w tym złożonego punktu końcowego nerkowego (49% vs 3%; RR=14,4 [95%CI: 3,7; 56,9] $p < 0,001$) oraz odsetka pacjentów osiągających $\geq 50\%$ redukcję UPCR (60% vs 5%; RR=12,0 [95%CI: 4; 36,1] $p < 0,001$). W obserwacji 52-tygodniowej utrzymywała się redukcja białkomoczu oraz względna stabilizacja funkcji nerek, jednak faza przedłużona miała charakter otwarty.

Uzupełniających danych dostarczyło RCT NOBLE (N=13) w populacji pacjentów z nawrotem choroby po przeszczepieniu nerki. Zaobserwowano korzystny wpływ PEG na parametry aktywności choroby, w tym redukcję odkładania złogów C3c w biopsji nerki oraz zmniejszenie białkomoczu, jednak ze względu na małą

liczebność populacji, krótki okres randomizowanej obserwacji (12 tyg.) oraz jej eksploracyjny charakter wyniki należy interpretować ostrożnie.

Dowodów z rzeczywistej praktyki klinicznej dostarczyło badanie obserwacyjne Bassanese 2026 (N=25); jego wyniki potwierdziły obserwacje z ww. badań randomizowanych.

Ocena bezpieczeństwa PEG opierała się głównie na wynikach RCT VALIANT oraz uzupełniając RCT NOBLE. Wyniki tych badań wskazują, że stosowanie PEG + SoC wiąże się z akceptowalnym profilem bezpieczeństwa, bez wyraźnego zwiększenia ryzyka zdarzeń niepożądanych względem standardowego postępowania.

Ograniczenia analizy wynikają przede wszystkim z ultraradkiego charakteru C3G i pierwotnego IC-MPGN, co przełożyło się na niewielką liczebność populacji w dostępnych badaniach. Nie odnaleziono przeglądów systematycznych ani metaanaliz, zatem wnioskowanie oparto na badaniach pierwotnych. Nadal brakuje długoterminowych badań kontrolowanych pozwalających ocenić wpływ leczenia na twarde punkty końcowe, takie jak schyłkowa niewydolność nerek, konieczność dializoterapii, utrata przeszczepu czy śmiertelność.

Wytyczne kliniczne

Aktualne wytyczne międzynarodowe (KDIGO 2021 & ISN 2023) wskazują, że podstawą leczenia pacjentów z C3G i pierwotnym IC-MPGN pozostaje leczenie nefroprotekcyjne obejmujące inhibitory układu renina-angiotensyna-aldosteron oraz postępowanie spowalniające progresję przewlekłej choroby nerek. Nowe zalecenia eksperckie coraz szerzej uwzględniają inhibitory dopełniacza jako terapie ukierunkowane na patomechanizm choroby (Noris 2024, Vivarelli 2022).

Problem ekonomiczny

Na podstawie przeprowadzonej analizy ekonomicznej stwierdzono, że wartość ICUR w wariancie bez zastosowanego RSS wyniosła ok. 3,71 mln PLN/QALY, a w wariancie z RSS – [REDACTED]. Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych w ramach załączonego projektu programu lekowego będzie generować [REDACTED]

[REDACTED] w wariancie z RSS. W wariancie bez RSS wzrost wydatków oszacowano na 73,6 mln PLN w I roku oraz 263,6 mln PLN w II roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono sześć zagranicznych rekomendacji refundacyjnych dotyczących PEG we wnioskowanym wskazaniu: dwie warunkowo pozytywne (CDA-AMC 2026, CIPM 2026), dwie negatywne (wstępna-NICE 2026 oraz Medicinrådet 2026) oraz dwa stanowiska G-Ba 2026 wskazujące na prawdopodobną dodatkową korzyść kliniczną o nieokreślonej wielkości. Rekomendacje pozytywne uzasadniono wykazaną przewagą PEG + SoC nad PLC + SoC w zakresie redukcji

białkomoczu oraz potencjalnym wpływem na spowolnienie pogarszania funkcji nerek, przy porównywalnym profilu bezpieczeństwa; refundację uzależniono m.in. od obniżenia ceny leku. Wstępna negatywna rekomendacja NICE była związana przede wszystkim z niepewnością analizy ekonomicznej oraz niekorzystnym stosunkiem kosztów do efektów zdrowotnych. Negatywną rekomendację duńską wydano w oparciu o niepewne długoterminowe korzyści kliniczne oraz nieakceptowalną efektywność kosztową.

Produkt leczniczy Aspaveli w ocenianym wskazaniu jest finansowany w 5 krajach UE i EFTA (Austria, Czechy, Słowenia, Islandia i Niemcy).

Główne argumenty decyzji:

- *Brak kontrolowanych badań długoterminowych.*
- *Brak efektywności kosztowej.*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*
- *Finansowanie tylko w pięciu krajach UE i EFTA.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.8.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Aspaveli (pegcetakoplan) w ramach nowego programu lekowego »Leczenie pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplelowym kłębuszkowym zapaleniem nerek związanym z dysregulacją (ICD-10: N03.5, N05.5)«”, data ukończenia: 26.08.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) 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: Swedish Orphan Biovitrum AB (publ).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 132/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Opzelura (ruksolitynib) we wskazaniu: bielactwo nabyte

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Opzelura (ruksolitynib), krem 15 mg/g, we wskazaniu: bielactwo nabyte.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsza opinia dotyczy wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego leku Opzelura (ruksolitynib), krem 15 mg/g, we wskazaniu: bielactwo nabyte.

Ruksolitynib to miejscowy inhibitor kinaz JAK (JAK1 i JAK2), stosowany w terapii repigmentacyjnej. Lek zarejestrowany jest do stosowania w leczeniu niesegmentowego bielactwa z zajęciem twarzy u dorosłych i młodzieży od dwunastego roku życia.

Dowody naukowe

Dostępne publikacje naukowe przedstawiają skuteczność ruksolitynibu w kremie u pacjentów z bielactwem uczestniczących w badaniach rejestracyjnych TRuE-V1 i TRuE-V2, obejmują odpowiednio wyniki z fazy otwartej, fazy przedłużonej oraz długoterminowe wyniki badania przedłużonego z leczeniem do maksymalnie 156 tygodni. Badania te wskazują że ruksolitynib zwiększa repigmentację i zmniejsza widoczność plam w bielactwie w porównaniu z placebo, a efekty leczenia zwiększają się wraz z czasem leczenia. Objawy niepożądane związane z leczeniem mają najczęściej charakter łagodny, w obrębie miejsca aplikacji. Brak jest badań bezpośrednio porównujących skuteczność ruksolitynibu z innymi przyjętymi metodami terapeutycznymi (w tym fototerapią i chemofototerapią).

Problem ekonomiczny

Oszacowanie kosztów leczenia jest znacznie utrudnione z uwagi na bardzo zindywidualizowane zużycie kremu, wynikające z powierzchni zmian skórnych, tempa i stopnia odpowiedzi na leczenie oraz ew. konieczności i czasu trwania leczenia podtrzymującego. Trudna jest także do oszacowania liczba pacjentów z bielactwem w Polsce i odsetek pacjentów którzy mogliby zostać objęci wnioskowanym leczeniem.

Przyjmując maksymalne zużycie leku na podstawie ChPL, koszt dla jednego pacjenta wyniósłby 108 tys. PLN.

Główne argumenty decyzji:

- Brak badań udowadniających przewagę wnioskowanej terapii nad innymi przyjętymi metodami terapeutycznymi;*
- Brak różnicy istotnej klinicznie na poprawę jakości życia;*
- Potencjalnie bardzo wysokie koszty dla płatnika publicznego;*
- Bardzo duża niepewność co do liczebności populacji.*

Uwaga Rady:

Rozwiązaniem systemowym, mogącym poprawić dostępność pacjentów z bielactwem nabytym do wnioskowanej terapii, jest objęcie ruksolitynibu finansowaniem w ramach programu lekowego, ze ściśle określonymi kryteriami kwalifikacji do leczenia oraz zasadami monitorowania leczenia.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), z uwzględnieniem opracowania nr: DWOK.414.6.2026 „Opzelura (ruksolitynib) we wskazaniu: bielactwo nabyte”, data ukończenia: 3 września 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 128/2026 z dnia 7 września 2026 roku
o projekcie programu „Program kompleksowej zdalnej opieki
dla kobiet w trzecim trymestrze ciąży” (woj. dolnośląskie)

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program kompleksowej zdalnej opieki dla kobiet w trzecim trymestrze ciąży” (woj. dolnośląskie), pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt PPZ z zakresu opieki nad kobietą ciężarną na lata 2027-2029. Program zapewnia możliwość całodobowego monitoringu położniczego uczestniczek, z możliwością przeprowadzenia nielimitowanego samodzielnego zapisu KTG i z możliwością uzyskania wyników na swoje konto w aplikacji. Zapis trafia przez aplikację mobilną do systemu teleinformatycznego, jednocześnie personel medyczny prowadzący ciążę posiada dostęp do dedykowanego panelu na stronie www i na bieżąco może obserwować zapisy oraz analizy zapisów KTG. Wskazano, że algorytm analizuje wyniki badania i przedstawia w aplikacji jego cyfrową i graficzną interpretację. Zaznaczono, że monitorowanie każdej ciężarnej kobiety będzie prowadzone przez realizatora, z możliwością konsultacji stacjonarnej w tym ośrodku, jak również hospitalizacji w razie zaistnienia wskazań klinicznych.

Populację docelową projektu stanowią kobiety ciężarne po 36. tygodniu ciąży albo po hospitalizacji zakończonej po 32. tygodniu ciąży wysokiego ryzyka (ok. 600 osób), zamieszkujące województwo dolnośląskie, w zakresie interwencji dotyczących tele-KTG, kadra medyczna (ok. 75 osób) w zakresie szkoleń, oraz dorośli mieszkańcy województwa, w zakresie działań informacyjno-edukacyjnych.

Koszt całkowity programu oszacowano na 1 500 000 zł.

Program zostanie sfinansowany z budżetu samorządu województwa dolnośląskiego.

Wnioskodawca przedstawił referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowano treść problemu zdrowotnego.

W projekcie odniesiono się do aktualnej Mapy Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) na lata 2022-2026, wskazując jedynie na utrzymujące się niekorzystne trendy demograficzne, przejawiające się m.in. spadkiem liczby urodzeń żywych przy

jednoczesnym wzroście liczby zgonów oraz pogłębianiem ujemnego przyrostu naturalnego.

Głównym założeniem projektu programu jest: „wykrycie niezdiagnozowanego wcześniej wysokiego ryzyka wystąpienia zaburzeń czynnościowych u płodu, u co najmniej 10% ciężarnych mieszkanek województwa dolnośląskiego zakwalifikowanych do programu poprzez zastosowanie telemedycznego systemu KTG, spośród wszystkich ciężarnych zakwalifikowanych do Programu realizowanego w latach 2027-2029”.

W treści projektu wskazano 3 cele szczegółowe, tj.: (1) „wzrost poziomu poczucia bezpieczeństwa w ciąży u co najmniej 50% uczestniczek programu (pomiar na początku i końcu Programu, w oparciu o badanie ankietowe)”, (2) „uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy wśród 75% kobiet ciężarnych uczestniczących w Programie, w zakresie opieki perinatalnej oraz monitorowania kobiet w ciąży, w tym za pomocą tele-KTG (pomiar na początku i końcu programu, w oparciu o pre-test i post-test)”, (3) „uzyskanie lub utrzymanie wysokiego poziomu wiedzy teoretycznej i praktycznej wśród 80% kadry medycznej w zakresie opieki perinatalnej, gryp ryzyka, monitorowania kobiet w ciąży, w tym za pomocą KTG oraz opieki ambulatoryjno-szpitalnej, przy wykorzystaniu systemu tele-KTG (pomiar na początku i końcu programu, w oparciu o pre-test i post-test)”.

W projekcie programu zaproponowano 4 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek ciężarnych kobiet, u których stwierdzono ryzyko wystąpienia zaburzeń czynnościowych u płodu poprzez zastosowanie telemedycznego systemu KTG w stosunku do wszystkich kobiet włączonych do Programu, wyrażony w procentach (co najmniej 10 % Uczestniczek)”, (2) „odsetek kobiet, u których zwiększył się poziom poczucia bezpieczeństwa podczas ciąży wśród uczestniczek Programu, wynik wyrażony w procentach (pomiar na początku i końcu Programu, w oparciu o badanie ankietowe; co najmniej 50 % Uczestniczek)”, (3) „odsetek kobiet, które uzyskały lub utrzymały wysoki poziom wiedzy teoretycznej i praktycznej - odsetek kobiet z wynikiem powyżej 75% prawidłowych odpowiedzi (pomiar na początku i końcu programu, w oparciu o badanie ankietowe)”, (4) „odsetek Uczestników szkolenia kadr medycznych, którzy uzyskali lub utrzymali wysoki poziom wiedzy w zakresie opieki perinatalnej, w tym kompleksowej opieki zdalnej (uzyskali lub utrzymali wynik powyżej 80% w teście wiedzy w oparciu o pre-test i post-test)”.

Wnioskodawca przedstawił kryteria włączenia i wyłączenia dla poszczególnych interwencji zaplanowanych w programie.

Kryteria wyłączenia dla grupy I – kobiet ciężarnych stanowią: ciąża mnoga, brak pisemnej zgody na udział w programie, brak zaświadczenia o ciąży, ciąża przed 36 tygodniem ciąży (z wyjątkiem kobiet po hospitalizacji z powodu ciąży

wysokiego ryzyka zakończonej po 32 tygodniu ciąży z potwierdzonym w dokumentacji medycznej występowaniem czynników ryzyka wymienionych w kryteriach włączenia). Ponadto wskazano na brak potwierdzenia zamieszkania w województwie dolnośląskim, wszelkie inne przeciwwskazania medyczne zaistniałe podczas trwania programu, zagrażające bezpieczeństwu zdrowotnemu uczestniczki programu. Jako kryterium wyłączenia wskazano także brak współpracy uczestniczki w ramach tele-opieki, oceniany przez lekarza realizatora na podstawie wykonywanego Planu Opieki (co najmniej brak realizacji założeń planu opieki przez okres 2 tyg.). Wnioskodawca zaznaczył również, że program będzie realizowany do momentu wyczerpania środków finansowych/limitu osób. Podkreślono, że programem zostaną objęte kobiety z populacji docelowej spełniające kryteria włączenia.

W ramach kryteriów włączenia dla grupy II – szkoleń kadry medycznej wnioskodawca wskazał, że szkolenia w programie będą skierowane do osób wykonujących zawód medyczny. Zaznaczono, że do udziału w szkoleniu kwalifikować się będzie personel medyczny zaangażowany w realizację programu, mający kontakt z uczestniczkami i udzielający świadczeń u realizatora na terenie województwa dolnośląskiego, w tym m.in. lekarze, położne oraz koordynatorzy programu. Zaznaczono, że z programu szkoleń wykluczone będą osoby, które ukończyły w ciągu poprzednich 2 lat szkolenie dla personelu medycznego obejmującego tę samą tematykę, w tym szczególnie kwestie monitorowania za pomocą tele-KTG i poziom szczegółowości (na podstawie oświadczenia).

W ramach kryteriów włączenia dla grupy III – odbiorców kampanii informacyjno-edukacyjnej wskazano, że grupę tę stanowi populacja ogólna województwa dolnośląskiego od 18. r.ż., do której zostanie skierowana kampania informacyjno-promocyjna umożliwiającą zapoznanie się z realizowanym programem oraz materiałami edukacyjnymi skierowanymi do populacji ogólnej. Podkreślono, że realizator zapewni, że urządzenia do telemedycznego KTG przekazywane kobietom będą wysterylizowane, zabezpieczone przed zanieczyszczeniami i uszkodzeniami, sprawne technicznie, posiadające aktualne przeglądy techniczne, zgodne z wymogami producenta, a także będą spełniały wszelkie wymagania określone przepisami prawa w zakresie dopuszczającym je do użytku.

W projekcie odniesiono się do zakończenia udziału w programie.

Wnioskodawca odniósł się do akcji informacyjno-promocyjnej.

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

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Uwagi Rady:

- *wnioskodawca powinien doprecyzować, jak definiowany będzie „wzrost poczucia bezpieczeństwa” uczestniczek programu;*
- *do programu wnioskodawca powinien załączyć przykładowy test wiedzy (pre-test i post-test) dla kadry medycznej;*
- *wnioskodawca powinien załączyć do programu wzór ankiety służącej badaniu „wzrostu poczucia bezpieczeństwa”;*
- *konieczne jest przedstawienie uzasadnienia wartości docelowej przyjętej dla celu szczegółowego nr 1;*
- *przedstawienie szczegółów edukacji kadry medycznej o czasie trwania szkolenia oraz liczebności grup szkoleniowych.*

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.451.54.2026 „Program kompleksowej zdalnej opieki dla kobiet w trzecim trymestrze ciąży” realizowany przez Województwo Dolnośląskie, data ukończenia: wrzesień 2026 r. oraz raportów nr: OT.431.50.2022 „Zdrowa mama – zdrowe dziecko” z sierpnia 2022 r. i nr: OT.431.99.2023 „Zdrowa mama – zdrowe dziecko” z grudnia 2023 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 129/2026 z dnia 7 września 2026 roku
o projekcie programu „Zdrowszy Kołobrzeg - program w zakresie
profilaktyki depresji u dzieci i młodzieży w mieście Kołobrzeg”**

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Zdrowszy Kołobrzeg - program w zakresie profilaktyki depresji u dzieci i młodzieży w mieście Kołobrzeg”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Miasto Kołobrzeg. W ramach PPZ zaplanowano realizację działań informacyjno-edukacyjnych oraz edukacyjnych skierowanych do dzieci i młodzieży, ich rodziców/opiekunów prawnych, a także osób pracujących z dziećmi i młodzieżą. Program przewiduje również możliwość skorzystania z konsultacji specjalistycznych dla dzieci i młodzieży.

Populację docelową PPZ będą stanowić dzieci i młodzież w wieku 10-15 lat zamieszkujące Kołobrzeg, ich rodzice/opiekunowie prawni oraz osoby pracujące z dziećmi/młodzieżą, w tym głównie kadra pedagogiczna.

Zgodnie z treścią projektu, do PPZ będzie włączonych rocznie ok. 1 100 osób. Działania edukacyjne dla dzieci/młodzieży obejmą rocznie ok. 600 osób (łącznie ok. 1 800 osób), działania edukacyjne dla rodziców/opiekunów prawnych ok. 400 osób (łącznie ok. 1 200 osób), natomiast działania edukacyjne dla osób pracujących z dziećmi/młodzieżą - ok. 40 osób (łącznie ok. 120 osób). Z kolei konsultacje specjalistyczne w programie obejmą rocznie 60 osób (łącznie ok. 180 osób).

Program ma być realizowany w latach 2026-2028.

Koszt całkowity programu został oszacowany na 121 627 zł.

Program ma być finansowany z budżetu Miasta Kołobrzeg.

Oceniany projekt programu zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie których przygotowana została treść problemu zdrowotnego.

Głównym celem programu jest „podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu, wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju w populacji dzieci i młodzieży wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych realizowanych w programie”.

W projekcie wskazano również 3 cele szczegółowe tj.: (1) „podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu, wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju w populacji dzieci i młodzieży wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych dla dzieci i młodzieży”, (2) „podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu, wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju w populacji dzieci i młodzieży wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych dla rodziców/opiekunów prawnych” oraz (3) „podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu, wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju w populacji dzieci i młodzieży wśród co najmniej 70% uczestników działań edukacyjnych dla osób pracujących z dziećmi i młodzieżą”.

Wnioskodawca przedstawił również 4 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek osób, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju wśród dzieci i młodzieży, względem wszystkich osób uczestniczących w działaniach edukacyjnych, które wypełniły pre-test”, (2) „odsetek dzieci/nastolatków, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju wśród dzieci i młodzieży, względem wszystkich dzieci/nastolatków uczestniczących w działaniach edukacyjnych, które wypełniły pre-test”, (3) „odsetek rodziców/opiekunów prawnych, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju wśród dzieci i młodzieży, względem wszystkich rodziców/opiekunów prawnych uczestniczących w działaniach edukacyjnych, które wypełniły pre-test% poprawnych odpowiedzi)” oraz (4) „odsetek osób pracujących z dziećmi i młodzieżą, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (min. 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju wśród dzieci i młodzieży, względem wszystkich osób pracujących z dziećmi i młodzieżą uczestniczących w działaniach edukacyjnych, które wypełniły pre-test% poprawnych odpowiedzi)”. Wszystkie mierniki zostały zaplanowane poprawnie.

W ramach PPZ zaplanowano realizację działań informacyjno-edukacyjnych oraz edukacyjnych skierowanych do dzieci i młodzieży, ich rodziców/opiekunów prawnych, a także osób pracujących z dziećmi i młodzieżą.

W treści projektu zaplanowano ocenę poziomu wiedzy uczestników przy wykorzystaniu testu wiedzy opracowanego przez realizatora, co jest działaniem zasadnym.

Działania edukacyjne dla rodziców/opiekunów prawnych obejmują realizację 45-minutowych spotkań adresowanych do rodziców i opiekunów prawnych dzieci i młodzieży. Zajęcia będą prowadzone w grupach liczących maksymalnie 100 uczestników, we współpracy z placówkami oświatowymi, z wykorzystaniem

infrastruktury szkół podstawowych na terenie Kołobrzegu. Spotkania będą prowadzone przez psychologa i/lub pedagoga posiadającego odpowiednie wykształcenie, doświadczenie oraz kompetencje w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju, w tym wczesnego rozpoznawania problemów zdrowia psychicznego.

Działania edukacyjne dla osób pracujących z dziećmi i młodzieżą obejmują realizację 120-minutowych spotkań skierowanych do osób pozostających w bezpośrednim kontakcie z dziećmi i młodzieżą, w tym nauczycieli, pedagogów szkolnych, lekarzy rodzinnych, pielęgniarek środowiskowych oraz innych pracowników instytucji pracujących z dziećmi i młodzieżą. Spotkania będą prowadzone w grupach liczących maksymalnie 40 uczestników, we współpracy z placówkami oświatowymi, z wykorzystaniem infrastruktury szkół podstawowych na terenie Kołobrzegu lub infrastruktury realizatora. Zajęcia będą prowadzone przez psychologa i/lub pedagoga posiadającego odpowiednie wykształcenie, doświadczenie oraz kompetencje w zakresie profilaktyki zaburzeń nastroju, w tym wczesnego rozpoznawania problemów zdrowia psychicznego.

W ramach interwencji uczestnicy uzyskają informacje dotyczące placówek i instytucji działających na terenie Kołobrzegu i okolic, w których można uzyskać pomoc w przypadku problemów z zakresu zdrowia psychicznego, w tym podmiotów udzielających świadczeń finansowanych ze środków publicznych. Przekazywane będą także informacje na temat możliwości skorzystania przez dzieci z konsultacji specjalistycznych (psychologicznych i/lub psychiatrycznych) przewidzianych w programie. Dodatkowo po zakończeniu spotkania uczestnicy będą mieli możliwość indywidualnej konsultacji z osobą prowadzącą.

W projekcie opisano sposób zakończenia udziału w programie.

Projekt zakłada realizację kampanii informacyjno-edukacyjnej.

Realizatorem programu będzie podmiot, wyłoniony w drodze konkursu ofert, co pozostaje w zgodzie z zapisami ustawowymi.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji. Ocena efektywności programu realizowana będzie na podstawie mierników efektywności zaplanowanych w PPZ. Warto zaznaczyć, że mierniki te zostały zaprojektowane prawidłowo.

Główne argumenty decyzji:

- Należy określić spójną liczbę konsultacji specjalistycznych przewidzianych do realizacji w programie (3-letni program przewiduje 60 konsultacji rocznie, co daje 180 konsultacji, a nie jak wskazał wnioskodawca 120);
- Należy określić, ile konsultacji będzie z zakresu psychologii, a ile z psychiatrii;
- Należy doprecyzować zasady kwalifikacji do konsultacji psychologicznych i psychiatrycznych;

- *Należy ustrukturyzować narzędzia służące ocenie objawów depresyjnych;*
- *Należy uwzględnić przeprowadzenie akcji informacyjno-edukacyjnej w opisie etapów programu;*
- *Należy doprecyzować źródła finansowania programu.*

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.451.55.2026 „Zdrowszy Kołobrzeg - program w zakresie profilaktyki depresji u dzieci i młodzieży w mieście Kołobrzeg” realizowany przez Miasto Kołobrzeg, data ukończenia: wrzesień 2026 r. oraz „Programy zdrowotne z zakresu zdrowia psychicznego – wspólne podstawy oceny”, luty 2015 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 130/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję
rurioktokog alfa pegol w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu pozarejestacyjnym: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10: D66) w ramach programu lekowego B.15.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika VIII. W obrazie ciężkiej postaci choroby, w której aktywność czynnika VIII spada poniżej 1% normy, dominują samoistne krwawienia do stawów (z powikłaniem w postaci tzw. artropatii hemofilowej), krwawienia do mięśni, krwimocz, krwawienia z przewodu pokarmowego i wewnątrzczaszkowe. Rurioktokog alfa pegol jest pegylowanym, rekombinowanym ludzkim czynnikiem VIII o wydłużonym okresie półtrwania. Rurioktokog alfa pegol to koniugat oktokogu alfa z glikolem polietylenowym (PEG). Aktywność terapeutyczna rurioktokogu alfa pegol pochodzi od oktokogu alfa, który został kowalencyjnie sprzężony z odczynnikiem PEG w celu wydłużenia okresu półtrwania w osoczu. W 2023 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (167/2023) dotyczącą zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15, powołując się na pozytywne opinie ekspertów klinicznych, wyniki badań naukowych i zgodność z najnowszymi rekomendacjami towarzystw naukowych.

Nowe dane naukowe dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa terapii u dzieci poniżej 12 r.ż. pozostają skąpe (małe grupy badane). Nie stanowią jednak podstawy do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

W przeglądzie systematycznym (Feng et al. 2025) stwierdzono, że wśród produktów EHL rFVIII, pacjenci pediatryczni z HA, którzy stosowali rurioktokog

alfa pegol, mieli niski odsetek rozwoju inhibitora. W badaniu Kim et al. 2025 obejmującego 338 pacjentów z HA w Korei Południowej, w tym dzieci poniżej 12 roku życia (n=54), wykazano, że profil bezpieczeństwa rurioktokog alfa pegolu był zgodny z wcześniejszymi doniesieniami.

Główny argument decyzji

Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

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).