



DOR.001.36.2026.MKZ

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 38/2026
w dniu 14 września 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. Artur Bachta
2. Anna Czerniecka-Kubicka
3. Andrzej Dąbrowski
4. Paweł Grzesiewski
5. Maciej Karaszewski
6. Elżbieta Lanc
7. Marcin Lipowski
8. Jacek Rubik
9. Zbigniew Siudak

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Anna Socha-Banasiak

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 zmiany technologii medycznej „Oznaczenie UACR (wskaźnik albumina/kreatynina) w próbce moczu”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vyjuvek (beremagene geperpavec), we wskazaniu: leczenie ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (- ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Yorvipath (palopegteriparatidum), w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z niedoczynnością przytarczyc (ICD-10: E20.0, E20.8, E20.9, E89.2)”.

5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Vyvgart (efgartigimod alfa), w ramach programu lekowego B.157. „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej gminy Ostrowiec Świętokrzyski w zakresie rehabilitacji wad postawy u dzieci i młodzieży szkół podstawowych na lata 2026-2029”.
7. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Programu polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 6. roku życia na Dolnym Śląsku”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych:
 - stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek,
 - stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza, nowotwór z epitelioidnych komórek przynaczyniowych,
 - cytopenie lub limfoproliferacja nienowotworowa (splenomegalia, limfadenopatia) w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacjach immunologicznych, np. haploinsuficencji CTLA4) w sytuacji: oporności na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach lub w ciężkich przypadkach – w pierwszej linii leczenia wspólnie ze sterydami lub jako jedyny celowany lek modyfikujący przebieg choroby,
 - zespół gumiatywnych zmian barwnikowych,
 - angiomatoza,
 - Zespół Klippela-Trénaunaya.
9. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych:
 - steroidozależny zespół nerczycowy; cyklosporynozależny zespół nerczycowy; nefropatia toczniowa; zapalenie naczyń; toczeń rumieniowaty układowy; twardzina układowa; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek; neuropatia zapalna; miopatia zapalna,
 - steroidooporny zespół nerczycowy; nefropatia IgA,
 - choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacji immunologicznych,
 - miastenia.

10. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Marcin Lipowski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Vyvgart, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go 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 podsumował raport dot. zmiany technologii medycznej z zakresu oznaczenie wskaźnika albumina/kreatyniny.

W trakcie prezentacji analitycznej do posiedzenia dołączyła Anna Socha-Banasiak, która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

Projekt stanowiska Rady przygotowała i przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W dyskusji, w wyniku której Rada doprecyzowała treść uchwały, uczestniczyli: Maciej Karaszewski, Anna Czerniecka-Kubicka, Jacek Rubik i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dotyczący leku Vyjuvek.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Anna Socha-Banasiak.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Anna Socha-Banasiak i Marcin Lipowski.

Treść uchwały doprecyzowali: Maciej Karaszewski, Anna Socha-Banasiak i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za”, przy 3 głosach „przeciw” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Yorvipath.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Jacek Rubik.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. leku Vyvgart.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Zbigniew Siudak i Artur Bachta, a przedstawił Zbigniew Siudak.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, przy 1 głosie wstrzymującym, z uwagi na zgłoszony konflikt interesów, uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej gminy Ostrowiec Świętokrzyski z zakresu rehabilitacji wad postawy u dzieci i młodzieży.

Głos zabrał Maciej Karaszewski.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Paweł Grzesiewski.

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

Ad 7. Analityk Agencji omówił założenia programu polityki zdrowotnej województwa dolnośląskiego z zakresu diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Elżbieta Lanc.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Elżbieta Lanc.

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

Ad 8. Analityk Agencji omówił dane z raportu dot. refundacji substancji czynnej sirolimusum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Głos zabrali Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Jacek Rubik.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Jacek Rubik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analityk Agencji omówił dane z raportu dot. refundacji substancji czynnej mycophenolas mofetil we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Artur Bachta.

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

Ad 10. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:44.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 133/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie oceny zasadności zmiany technologii medycznej
„Oznaczenie UACR (wskaźnik albumina/kreatynina) w próbce moczu”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadną zmianę technologii medycznej „Oznaczenie UACR (wskaźnik albumina/kreatynina) w próbce moczu”, rozumianej jako rozszerzenie dostępności badania do realizacji i finansowania w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem oceny jest zasadność zmiany technologii medycznej w odniesieniu do świadczenia „Oznaczenie UACR (wskaźnik albumina/kreatynina) w próbce moczu”, rozumianej jako rozszerzenie dostępności badania do realizacji i finansowania w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) oraz rozszerzenie wskazań do jego stosowania na dodatkowe populacje pacjentów, wykraczające poza zakres świadczeń realizowanych obecnie w ramach budżetu powierzonego podstawowej opiece zdrowotnej (POZ).

Oznaczenie wskaźnika UACR umożliwia wykrycie albuminurii, ocenę stopnia uszkodzenia nerek, monitorowanie skuteczności leczenia nefroprotektoryjnego oraz precyzyjniejszą stratyfikację ryzyka sercowo-naczyniowego. Podwyższony UACR wiąże się ze zwiększonym ryzykiem udaru, zawału serca, a także z progresją niewydolności serca, a w szczególności progresją przewlekłej choroby nerek. Identyfikowanie podwyższonej albuminurii pozwala na reklasyfikację pacjenta do wyższej kategorii ryzyka sercowo-naczyniowego, co przekłada się na modyfikację celów terapeutycznych. Aktualne wytyczne praktyki klinicznej rekomendują przeprowadzenie tego badania u pacjentów z cukrzycą, nadciśnieniem tętniczym, rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek (PChN) oraz osób zagrożonych PChN, a także osób z chorobami sercowo-naczyniowymi, w tym niewydolnością serca.

Problem decyzyjny wynika z faktu, że choć oznaczenie UACR jest obecnie finansowane ze środków publicznych w ramach budżetu powierzonego opieki

koordynowanej POZ, nie funkcjonuje odrębna procedura lub świadczenie gwarantowane umożliwiające jednoznaczną identyfikację, sprawozdawanie i finansowanie tego badania w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej. W obowiązującym wykazie świadczeń gwarantowanych AOS uwzględniono badania diagnostyczne I09 Albumina oraz M37 Kreatynina, jednak zakres tych procedur nie pozwala na jednoznaczne ustalenie, czy oznaczenia wykonano w tej samej próbce moczu oraz czy wyliczono wskaźnik albumina/kreatynina (UACR). W konsekwencji nie jest możliwa jednoznaczna identyfikacja oznaczenia UACR na podstawie danych sprawozdawczych, ponieważ współwystępowanie obu kodów w ramach jednego epizodu świadczenia nie potwierdza, że oznaczenia albuminy i kreatyniny wykonano w tej samej próbce moczu ani że obliczono i zareportowano stosunek stężenia albuminy do stężenia kreatyniny. Jednocześnie ocena albuminurii stanowi obligatoryjny element świadczenia „Opieka nad pacjentem z cukrzycą”. Należy podkreślić, że brak odrębnego kodu dla oznaczenia UACR nie jest równoznaczny z brakiem możliwości wykonywania tego badania w ramach AOS.

Obecnie oznaczenie wskaźnika UACR stanowi świadczenie gwarantowane finansowane ze środków publicznych w ramach budżetu powierzonego opiece koordynowanej w POZ, obejmującego opiekę nad pacjentami z cukrzycą, nadciśnieniem tętniczym, chorobami sercowo-naczyniowymi oraz przewlekłą chorobą nerek. Dostęp do badania jest zatem powiązany z realizacją określonych ścieżek opieki oraz organizacją świadczeń w POZ.

Przewlekła choroba nerek stanowi istotny problem zdrowia publicznego. Według danych Global Burden of Disease liczba dorosłych z PChN na świecie wzrosła do około 788 mln w 2023 r., a choroba odpowiadała za 1,48 mln zgonów, będąc dziewiątą najczęstszą przyczyną zgonów globalnie. W Europie z PChN żyje ponad 93 mln osób. W Polsce występowanie PChN standaryzowane względem wieku oszacowano na 8,9%, natomiast śmiertelność z jej powodu wyniosła 11,2 zgonu na 100 tys. mieszkańców. Rosnące obciążenie epidemiologiczne związane jest przede wszystkim ze starzeniem się populacji oraz wysoką częstością występowania cukrzycy i nadciśnienia tętniczego. Otyłość, cukrzyca i nadciśnienie tętnicze należą do kluczowych czynników ryzyka przewlekłej choroby nerek (PChN). Choroby te prowadzą do postępującego uszkodzenia nerek poprzez m.in. zaburzenia hemodynamiczne, przewlekły stan zapalny oraz zmiany naczyniowe, co skutkuje stopniową utratą funkcji nerek. W konsekwencji zwiększają one ryzyko rozwoju PChN, a w zaawansowanych przypadkach także schyłkowej niewydolności nerek wymagającej leczenia nerkozastępczego. Wczesna identyfikacja i skuteczne leczenie tych schorzeń mają kluczowe znaczenie dla ograniczenia ryzyka uszkodzenia nerek i spowolnienia postępu choroby.

Problem decyzyjny dotyczy natomiast ustalenia, czy istnieją przesłanki kliniczne, organizacyjne oraz ekonomiczne uzasadniające zwiększenie dostępności tego badania poprzez umożliwienie jego realizacji i finansowania również w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej oraz objęcie nim dodatkowych grup pacjentów, u których wytyczne praktyki klinicznej rekomendują ocenę albuminurii. Proponowane rozszerzenie wskazań obejmuje populacje pacjentów z: rozpoznaną cukrzycą typu 2 lub w pięć lat po rozpoznaniu cukrzycy typu 1, cukrzycą o ustalonej lub nieustalonej etiologii, nadciśnieniem tętniczym, chorobami sercowo-naczyniowymi, otyłością, niewydolnością serca, przewlekłą chorobą nerek lub podejrzeniem jej występowania, zespołem sercowo-nerkowo-metabolicznym. Jednocześnie wskazywane jest, że badanie nie powinno być wykonywane u pacjentów, u których brak jest wskazań klinicznych do jego wykonania.

Zgodnie z Kartą Świadczenia Opieki Zdrowotnej proponowane rozwiązanie zakłada umożliwienie realizacji i finansowania wnioskowanego badania m.in. w poradniach diabetologicznych, nefrologicznych, kardiologicznych, endokrynologicznych.

Dowody naukowe

Wskaźnik albumina/kreatynina w moczu (UACR) jest rekomendowaną metodą oceny albuminurii w rutynowej praktyce klinicznej. Badanie wykonywane jest w pojedynczej próbce moczu, najlepiej w pierwszej porannej próbce i umożliwia ilościową ocenę wydalania albuminy z uwzględnieniem stężenia moczu. UACR stanowi praktyczną alternatywę dla dobowej zbiórki moczu, zachowując dobrą korelację z 24-godzinnym wydalaniem albuminy, dlatego jest powszechnie wykorzystywany zarówno w diagnostyce, jak i monitorowaniu progresji przewlekłej choroby nerek.

Analizie poddano dziesięć dokumentów wytycznych praktyki klinicznej (ADA 2026, PTD 2026, ESC 2026, ESC 2024, KDIGO 2024, PTNT/PTK 2024, ISPAD 2024, ESH 2023, NICE 2023, NICE 2021) oraz jedno stanowisko eksperckie (AHA 2023), na podstawie których stwierdzono, że postępowanie jest zalecane w diagnostyce i monitorowaniu osób z cukrzycą, nadciśnieniem tętniczym, przewlekłą chorobą nerek oraz u osób zagrożonych rozwojem przewlekłej choroby nerek, jak również znajduje zastosowanie w wykrywaniu, klasyfikacji i monitorowaniu przewlekłej choroby nerek oraz ocenie ryzyka sercowo-naczyniowego, najczęściej łącznie z oceną eGFR. Ustalono, że u osób z rozpoznaną przewlekłą chorobą nerek powinno być wykonywane co najmniej raz w roku, a u osób z większym ryzykiem progresji choroby zalecana jest większa częstość oznaczeń. Postępowanie stanowi element badań przesiewowych w kierunku cukrzycowej choroby nerek oraz przewlekłych powikłań u dzieci i młodzieży z cukrzycą. Rekomendowane jest oznaczenie w pojedynczej, preferencyjnie pierwszej porannej próbce moczu. Wymaga potwierdzenia

nieprawidłowych wyników w kolejnych oznaczeniach przed rozpoznaniem utrwalonej albuminurii lub przewlekłej choroby nerek. Może być wykonywane z wykorzystaniem testów wykonywanych w miejscu opieki nad pacjentem (ang. point-of-care testing, POCT) w sytuacjach ograniczonego dostępu do diagnostyki laboratoryjnej lub gdy umożliwia to usprawnienie procesu diagnostyczno-terapeutycznego.

Podsumowując, wykorzystanie oznaczenia UACR jako elementu diagnostyki, oceny ryzyka oraz monitorowania pacjentów z cukrzycą, przewlekłą chorobą nerek, nadciśnieniem tętniczym oraz zespołem sercowo-nerkowo-metabolicznym jest zasadne. Wytyczne rekomendują wykonywanie oznaczenia UACR łącznie z oceną eGFR i stężenia kreatyniny w surowicy krwi w celu oceny funkcji nerek, ryzyka nerkowego i sercowo-naczyniowego oraz monitorowania pacjentów.

UACR oznacza się rutynowo przede wszystkim u pacjentów z cukrzycą, nadciśnieniem tętniczym, PChN oraz dorosłych od stadium 2 zespołu CKM. W pozostałych grupach badanie wykonuje się przy występowaniu czynników ryzyka PChN, przy czym sama otyłość bez dodatkowych czynników ryzyka nie stanowi wskazania. U dzieci rutynową ocenę prowadzi się głównie w cukrzycy i PChN, a w innych przypadkach w obecności czynników ryzyka PChN.

Rekomendacje o najwyższej sile dowodów dotyczą stosowania inhibitorów konwertazy angiotensyny (ACEI) lub antagonistów receptora angiotensyny II (ARB) w określonych grupach pacjentów z PChN i albuminurią oraz wykorzystania wartości oznaczenia UACR w procesie kwalifikacji pacjentów z albuminurią do leczenia nefroprotektoryjnego. Analizowane wytyczne wskazują ponadto oznaczenie UACR jako narzędzie oceny uszkodzenia nerek, oceny ryzyka progresji przewlekłej choroby nerek oraz zdarzeń sercowo-naczyniowych.

Analiza rozwiązań funkcjonujących we Francji, na Litwie, w Niemczech i Wielkiej Brytanii wskazuje, że oznaczenie wskaźnika albumina/kreatynina w moczu (UACR) stanowi standardowy element diagnostyki i monitorowania przewlekłej choroby nerek oraz nefropatii cukrzycowej. We wszystkich analizowanych krajach badanie jest finansowane ze środków publicznych i wykonywane przede wszystkim u pacjentów z cukrzycą oraz innych osób należących do grup ryzyka rozwoju przewlekłej choroby nerek. Najczęściej zalecana jest jego realizacja co najmniej raz w roku, przy czym częstotliwość może być zwiększana w zależności od stanu klinicznego pacjenta i postępu choroby. Odnalezione informacje wskazują ponadto, że badanie UACR jest integralnym elementem programów profilaktycznych skierowanych do pacjentów z ryzykiem rozwoju PChN, ustrukturyzowanych ścieżek opieki oraz systemów monitorowania pacjentów z chorobami przewlekłymi. W części krajów, takich jak Francja i Niemcy, określono szczegółowe zasady rozliczania poszczególnych składowych badania oraz raportowania wyników, natomiast w Wielkiej Brytanii i na Litwie badanie jest elementem świadczeń gwarantowanych finansowanych w ramach

powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego. Zidentyfikowane rozwiązania potwierdzają, że oznaczenie UACR jest uznawane za narzędzie wczesnego wykrywania i monitorowania uszkodzenia nerek oraz jest szeroko dostępne w publicznych systemach ochrony zdrowia.

Problem ekonomiczny

Świadczenie przeznaczone jest do realizacji w AOS w szczególności w ramach poradni: diabetologicznej, diabetologicznej i endokrynologicznej dla dzieci, kardiologicznej (OK-1, OK-2, OK-3), kardiologii dziecięcej, nefrologicznej, nefrologii dziecięcej, endokrynologicznej oraz angiologicznej. Ponadto mogłoby być ono realizowane w poradniach nadciśnienia tętniczego, zaburzeń lipidowych, wad wrodzonych serca u dorosłych oraz wad nabytych serca u dorosłych, o ile zostały one wyodrębnione z poradni kardiologicznej, a także w poradniach wad serca u dzieci wyodrębnionych z poradni kardiologii dziecięcej. Dodatkowo, w przypadku funkcjonowania w ramach OK-1 wyodrębnionej poradni chorób wewnętrznych lub poradni geriatrycznej, również w tych poradniach powinna istnieć możliwość realizacji świadczenia.

Koszt jednostkowy badania w OK POZ określono na poziomie 37,42 zł. Proponowana zmiana w AOS ma na celu poprawę stanu zdrowia populacji poprzez zwiększenie dostępności wczesnej diagnostyki, rozpoznawania i profilaktyki chorób nerek oraz chorób sercowo-naczyniowych. Możliwe, że w dłuższej perspektywie zmiana technologii medycznej przyczyni się do ograniczenia progresji choroby nerek, zmniejszenia ryzyka powikłań sercowo-naczyniowych, redukcji liczby hospitalizacji oraz poprawy rokowania pacjentów, a tym samym ograniczenia kosztów przewlekłych terapii. W obecnym stanie wiedzy nie można jednak ustalić inkrementalnej zmiany kosztów względem zwiększenia dostępności do rozpatrywanej technologii medycznej.

Główne argumenty decyzji

- Postępowanie zgodne z rekomendacjami i wytycznymi praktyki klinicznej;
- Rozwiązanie praktykowane w innych krajach;
- Badanie mało obciążające dla pacjentów;
- Łatwość oznaczeń i możliwość wdrożenia organizacyjnego;
- Jednoznaczność w identyfikacji, sprawozdawczości i finansowaniu badania;
- Prawdopodobny brak wpływu na budżet płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem raportu w sprawie oceny zasadności realizacji świadczenia w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej i rozszerzenia wskazań do jego stosowania o dodatkowe populacje pacjentów nr: DWSGiZS.4103.1.2026 „Oznaczenie UACR (wskaźnik albumina/kreatynina) w próbce moczu”; data ukończenia: 08.09.2026 r., aktualizacja z dn. 11.09.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 134/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach
programu lekowego „Leczenie dystroficznego pęcherzowego
oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyjuvek (beremagene geperpavec), zawiesina i podłoże żelowe do sporządzania żelu, PFU/ml, 1 fiolka 1 ml zawiesiny + 1 fiol. 1,5 ml żelu, GTIN: 0415019787729, we wskazaniu: leczenie ran u pacjentów od urodzenia z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją lub mutacjami w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1), w ramach programu lekowego „Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)”, w ramach nowej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem:

- *obniżenia ceny leku,*
- *zastosowania mechanizmu typu cap, w celu ograniczenia wydatków płatnika publicznego.*

Rada zgłasza następującą uwagę do programu lekowego:

Należy doprecyzować brzmienie przedmiotowego kryterium wyłączenia (nieuzyskanie redukcji powierzchni ran $\geq 50\%$ po 6 miesiącach leczenia), gdyż na podstawie obecnego zapisu nie jest jednoznaczne, czy ocena skuteczności leczenia będzie prowadzona również w odniesieniu do ran, których terapię rozpoczęto po pierwszej wizycie terapeutycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stanowisko dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego: Vyjuvek (beremagene geperpavec) w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją lub mutacjami w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1), w ramach nowego programu lekowego. Wnioskowane wskazanie

refundacyjne dla leku Vyjuvek jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Produkt leczniczy Vyjuvek był przedmiotem oceny AOTMiT w ramach tworzenia wykazu technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI), w wyniku której został uwzględniony w wykazie opublikowanym 10 marca 2026 r. Beremagene geperpavec (B-VEC) nie został włączony na listę technologii o wysokim poziomie innowacyjności opublikowaną przez Ministerstwo Zdrowia 12 czerwca 2026 r.

DEB jest ciężką, ultraradką chorobą genetyczną spowodowaną mutacjami w genie COL7A1 kodującym kolagen typu VII. Choroba może być dziedziczona autosomalnie dominująco (ang. dominant dystrophic epidermolysis bullosa, DDEB) lub recesywnie (ang. recessive dystrophic epidermolysis bullosa, RDEB). Objawy występują zwykle od urodzenia i obejmują nawracające uszkodzenia, pęcherze oraz bliznowacenie skóry i błon śluzowych, w tym jamy ustnej, przełyku, układu moczowo-płciowego oraz narządu wzroku.

W Polsce, zgodnie z danymi z 2023 roku, na pęcherzowe oddzielanie naskórka choruje 100 osób, z czego 70 stanowią dzieci i młodzież. Roczna liczba nowych zachorowań w Polsce w przypadku RDEB szacowana jest na 1/50 000 urodzeń.

DEB wiąże się z występowaniem licznych powikłań, w tym przewlekłego bólu, świądu, niedokrwistości, zakażeń, przykurczów, zwężeń przełyku, zaburzeń odżywiania oraz powikłań okulistycznych. U noworodków rozległe uszkodzenia skóry zwiększają ryzyko zgonu z powodu zakażeń, natomiast w dalszym przebiegu choroby mogą prowadzić m.in. do zahamowania wzrostu, utraty wzroku czy niewydolności nerek.

Rokowanie zależy od podtypu choroby. RDEB wiąże się z wysokim ryzykiem rozwoju raka płaskonabłonkowego skóry (ang. squamous cell carcinoma, SCC), szacowanym na ok. 75%, oraz istotną śmiertelnością – blisko 10% pacjentów umiera przed 10. rokiem życia, niemal 40% przed ukończeniem 20 lat, a 72% nie dożywa 30. roku życia. Pacjenci z DDEB zazwyczaj osiągają długość życia zbliżoną do populacji ogólnej.

Leczenie chorych z DEB opiera się na pielęgnacji ran, łagodzeniu dolegliwości związanych ze świądem i bólem oraz postępowaniu przeciwinfekcyjnym. W objawowym leczeniu pacjentów wykorzystuje się atraumatyczne opatrunki, tj. nieprzywierające opatrunki z warstwą kontaktową, opatrunki piankowe, hydrożelowe i alginianowe. W leczeniu bólu i świądu stosuje się leki przeciwbólowe, w tym opioidy oraz leki stosowane w bólu neuropatycznym, a także metody nefarmakologiczne. Ponadto, ze względu na ryzyko rozwoju zmian nowotworowych wytyczne zalecają regularne monitorowanie stanu skóry chorych. Jako komparator dla badanej technologii należy uznać leczenie wspomagające (ang. best supportive care, BSC).

Beremagene geperpavec to terapia genowa oparta na zmodyfikowanym, niezdolnym do replikacji wirusie opryszczki pospolitej typu 1 (HSV-1) zawierającym gen COL7A1, a więc ukierunkowanym na podstawową genetyczną przyczynę dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka.

Dowody naukowe

Kluczowe dowody naukowe dla oceny efektywności klinicznej B-VEC stanowią wyniki badania GEM-3 oraz OLE.

W randomizowanym, podwójnie zaślepionym badaniu III fazy (GEM-3) oceniano skuteczność B-VEC w porównaniu z placebo u pacjentów w wieku 6 miesięcy lub starszych, z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1). Czas interwencji wyniósł 26 tygodni.

Zastosowanie B-VEC wiązało się z istotnym statystycznie wyższym odsetkiem całkowicie zagojonych ran w porównaniu z placebo zarówno w okresie 3, jak i 6 miesięcy terapii. Odpowiednio 70,6% vs. 19,7% ($p < 0,001$) oraz 67,4% vs. 21,6% ($p = 0,002$).

Na podstawie analizy post hoc wykazano utrzymującą się trwałość odpowiedzi terapeutycznej, zdefiniowaną jako całkowite zamknięcie rany zarówno po 3, jak i po 6 miesiącach, która wystąpiła w 49,7% ran poddanych działaniu preparatu B-VEC oraz w 7,1% ran, w których zastosowano placebo. Różnica pomiędzy grupami była istotna statystycznie ($p = 0,002$).

Zmianę nasilenia bólu podczas zmiany opatrunków oceniano za pomocą skali VAS (ang. Visual Analogue Scale) u chorych w wieku 6 lat i starszych oraz skali FLACC-R (ang. Face, Legs, Activity, Cry, Consolability – Revised) u dzieci poniżej 6. roku życia. Wyniki analizy skali VAS wykazały korzystniejszy wpływ ocenianej interwencji na redukcję bólu podczas zmiany opatrunków w porównaniu z wartością początkową niż w grupie placebo, jednak przy stosunkowo niewielkiej wielkości efektu. Różnice średnich obliczonych metodą LS (ang. least squares) pomiędzy B-VEC a placebo dla wyników zmiany nasilenia bólu rany względem wartości wyjściowej były istotne statystycznie w 22. tyg. ($p = 0,016$), a nie osiągnęły istotności w tyg. 24. ($p = 0,058$) i 26. ($p = 0,072$). Nie sformułowano wniosków dotyczących nasilenia bólu ocenianego za pomocą skali FLACC-R u dzieci poniżej 6. roku życia ze względu na niewielką liczebność próby ($n = 4$).

Jakość życia oceniano za pomocą kwestionariuszy EQ-5D-5L i Skindex-29. Po 6 miesiącach leczenia u większości chorych obserwowano poprawę lub brak pogorszenia jakości życia w EQ-5D-5L, natomiast wyniki Skindex-29 pozostawały na ogół stabilne względem wartości wyjściowych. Interpretację wyników ograniczał krótki okres obserwacji oraz brak możliwości leczenia wszystkich ran przy użyciu B-VEC.

Długoterminową skuteczność B-VEC oceniano w otwartej fazie przedłużonego badania klinicznego (OLE), w którym mediana czasu leczenia wyniosła 81 tygodni. Wśród chorych kontynuujących terapię B-VEC całkowite zamknięcie ran obserwowano u 61,1% do 89,5% pacjentów w kolejnych punktach oceny przeprowadzanych po 3, 6, 9 i 12 miesiącach leczenia, co było spójne z wynikami badania GEM-3.

W badaniu obserwowano poprawę jakości życia do 104. tygodnia, wyrażoną wzrostem wyniku EQ VAS oraz spadkiem wyniku całkowitego kwestionariusza Skindex-29. Należy jednak zauważyć, że interpretację wyników ogranicza przedwczesne zakończenie badania oraz mała liczba ocen w późniejszym okresie obserwacji. Pomimo obserwowanej poprawy, nasilenie objawów oceniane za pomocą Skindex-29 nadal odpowiadało ciężkiemu przebiegowi choroby.

Wyniki kwestionariusza TSQM-9 wskazują, że ogólny poziom satysfakcji z leczenia B-VEC pozostawał wysoki i względnie stabilny, choć w grupie pacjentów kontynuujących terapię odnotowano pewne obniżenie wyników w domenie ogólnej satysfakcji. Interpretację przedstawionych wyników ograniczają niewielkie liczebności grup oraz zmniejszająca się w czasie liczba wypełnionych kwestionariuszy.

Do głównych ograniczeń analizy klinicznej należy przede wszystkim niewielka liczebność populacji objętej leczeniem oraz ograniczony okres obserwacji, co utrudnia ocenę długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa terapii. Dodatkowo, zastosowany w badaniu GEM-3 schemat porównania wewnątrzgrupowego ogranicza możliwość bezpośredniego porównania wyników względem komparatora w zakresie jakości życia oraz występowania ogólnoustrojowych działań niepożądanych.

W badaniu klinicznym GEM-3 jakiejkolwiek zdarzenia niepożądane (ang. adverse event, AE) wystąpiły u ok. 58% pacjentów. Większość obserwowanych zdarzeń miała charakter łagodny (ok. 48%). Ciężkie AE wystąpiły u ok. 10% chorych. Zareportowano jedno AE związane z zastosowaniem B-VEC, którym był rumień skóry o łagodnym stopniu nasilenia.

Najczęściej występujące zdarzenia niepożądane obejmowały raka kolczystokomórkowego, świąd oraz dreszcze (po ok. 10% każde), a także katar, kaszel, rumień i wysypkę (po ok. 7% każde). Należy podkreślić, że wszystkie zgłoszenia dotyczące raka kolczystokomórkowego dotyczyły miejsc, które nie były bezpośrednio narażone na działanie ocenianego leku.

W badaniu OLE co najmniej jedno zdarzenie niepożądane zaistniało w trakcie leczenia (ang. treatment-emergent adverse event, TEAE) wystąpiło u ok. 75% pacjentów. Ciężkie TEAE częściej raportowano w grupie pacjentów, którzy uczestniczyli uprzednio w badaniu GEM-3 w porównaniu do chorych wcześniej nieleczonych (38% vs. 22%).

Najczęściej obserwowane TEAE w obu grupach obejmowały: COVID-19 (38% vs. 26%), kaszel (25% vs. 13%), gorączkę (21% vs. 9%), infekcje skóry (17% vs. 9%) oraz zapalenie tkanki podskórnej i nieżyt nosa (każde po ok. 13% vs. 4%).

W trakcie trwania obu badań (GEM-3 oraz OLE) nie zareportowano żadnych zgonów ani zdarzeń prowadzących do całkowitego przerwania leczenia.

Wytyczne kliniczne

Najnowsze wytyczne El Hachem 2025 wymieniają miejscową terapię genową w postaci żelu zawierającego gen COL7A1 jako dodatkową opcję terapeutyczną w leczeniu ran u pacjentów z RDEB. Wśród dostępnych metod leczenia miejscowego wskazano również żel z triterpenami brzoźowymi.

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania B-VEC+BSC vs. BSC w perspektywie płatnika publicznego wyniósł ok. 352 tys. zł/QALY. Wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Wyniki analizy probabilistycznej wykazały, że prawdopodobieństwo opłacalności kosztowej technologii Vyjuvek w perspektywie płatnika publicznego wynosi .

Analiza obarczona jest niepewnością wynikającą przede wszystkim z konieczności ekstrapolacji efektów zdrowotnych poza okres obserwacji dostępny w badaniach klinicznych oraz z licznych założeń modelowych przyjętych ze względu na ograniczoną dostępność danych dotyczących przebiegu choroby, jakości życia chorych i przejść pomiędzy stanami zdrowia. Dodatkowym źródłem niepewności są założenia dotyczące przebiegu terapii w warunkach rzeczywistej praktyki klinicznej, w szczególności stopnia dzielenia fiolek oraz kosztów leczenia wspomagającego.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie 2-letnim. Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, objęcie refundacją produktu leczniczego Vyjuvek w wariantcie podstawowym spowoduje wzrost wydatków NFZ o ok. 55,5 mln PLN w 1. roku i ok. 78,0 mln PLN w 2. roku refundacji.

Głównym źródłem niepewności analizy są założenia dotyczące liczebności populacji docelowej oraz prognozowanych udziałów rynkowych technologii wnioskowanej, które determinują liczbę pacjentów obejmowanych leczeniem i tym samym oszacowane wydatki płatnika publicznego.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono dwie pozytywne rekomendacje refundacyjne (HAS 2025, G-BA 2026). Zwraca się w nich uwagę na udowodnioną skuteczność B-VEC w zakresie całkowitego wygojenia rany, brak alternatywnych metod leczenia oraz innowacyjność leku.

W projekcie negatywnej rekomendacji NICE, pomimo uznania wysokiej niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej oraz potencjalnych dodatkowych korzyści

klinicznych związanych ze stosowaniem B-VEC, wskazano na liczne niepewności dotyczące modelu ekonomicznego oraz nieakceptowalną efektywność kosztową.

Główne argumenty decyzji

- *niezaspokojona potrzeba medyczna;*
- *innowacyjny mechanizm działania skierowany na przyczynę choroby;*
- *krótkoterminowa skuteczność terapii potwierdzona w badaniach;*
- *postępowanie zgodne z najnowszymi rekomendacjami klinicznymi;*
- *dwie pozytywne rekomendacje refundacyjne;*
- *brak efektywności kosztowej;*
- *niepewność dotycząca kosztów dla 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: OTLI.4131.3.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vyjuvek (beremagene geperpavec) w ramach programu lekowego: »Leczenie dystroficznego pęcherzowego oddzielania się naskórka (ICD-10: Q81.2)«”, data ukończenia: 3 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Krystal Biotech Netherlands, B.V.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Krystal Biotech Netherlands, B.V. 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: Krystal Biotech Netherlands, B.V.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 135/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Yorvipath (palopegteriparatidum) w ramach
programu lekowego „Leczenie pacjentów z niedoczynnością
przysadczyc (ICD-10: E20.0, E20.8, E20.9, E89.2)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- Yorvipath (palopegteriparatidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 168 mcg/0,56 ml, 2 wstrzykiwacze, GTIN: 05714765032439,
 - Yorvipath (palopegteriparatidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 294 mcg/0,98 ml, 2 wstrzykiwacze, GTIN: 05714765032446,
 - Yorvipath (palopegteriparatidum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 420 mcg/1,4 ml, 2 wstrzykiwacze, GTIN: 05714765032453,
- w ramach programu lekowego „Leczenie pacjentów z niedoczynnością przysadczyc (ICD-10: E20.0, E20.8, E20.9, E89.2)”.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problem zdrowotny

Niedoczynność przysadczyc stanowi złożony problem endokrynologiczny, charakteryzujący się brakiem lub niedostateczną produkcją parathormonu (PTH), hipokalcemią i hiperfosfatemią. Większość objawów niedoczynności przysadczyc (HypoPT) wynika z hipokalcemii, zarówno ostrej, jak i przewlekłej. Jednak wiele przewlekłych powikłań: zahamowanie metabolizmu kostnego, kamica nerkowa/nefrokalcynoza, niewydolność nerek, zwapnienia jąder podstawnych mózgu, zaćma czy zaburzenia psychoemocjonalne mogą zależeć od niedoboru PTH, niedostatecznej kontroli stężenia fosforanów we krwi lub stanowić niepożądane efekty leczenia.

Konwencjonalne leczenie niedoczynności przytarczyc polega na doustnej suplementacji wapnia i rozważnym stosowaniu aktywnej formy witaminy D, tj. kalcytriolu lub innego aktywnego analogu, w dawkach indywidualizowanych, w zależności od oceny klinicznej. Leczenie takie nie jest doskonałe i nie zastępuje prawidłowego wydzielania PTH. W konsekwencji może wiązać się z niedostateczną kontrolą biochemiczną i ryzykiem powikłań, zwłaszcza nerkowych. Szacuje się, że odsetek pacjentów, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca wynosi 10 – 15%.

Palopegteryparatyd jest prolekiem zawierającym PTH(1-34) sprzężony z nośnikiem glikolu metoksypolietylenowego (mPEG) poprzez zastrzeżony łącznik TransCon. PTH(1-34) i jego główny metabolit mają podobne powinowactwo oraz aktywują PTH1R jak endogenne PTH. Lek ma być codziennie podawany podskórnie.

Dowody naukowe

Dane naukowe pochodzą głównie z 2 badań pierwotnych z randomizacją, porównujących palopegteryparatyd dodany do terapii konwencjonalnej z placebo dodanym do terapii konwencjonalnej (PaTHway – badanie III fazy, PaTH Forward – badanie II fazy) oraz z trzech, niższej wiarygodności badań jednoramiennych (PaTHway Japan – badanie III fazy, Graham 2022 i Siggelkow 2025). Wyniki badania palopegteriparatide (Yorvipath, TransCon PTH) dostarczają przekonujących dowodów na skuteczność, jako rzeczywistej terapii substytucyjnej PTH, ale siła tych dowodów jest bardzo nierówna zależnie od punktu końcowego.

Dostępne badania wykazały, że palopegteriparatyd skutecznie zastępuje brak PTH: pozwala utrzymać normokalcemię, znacząco ograniczyć lub odstawić aktywną witaminę D i duże dawki wapnia oraz zmniejsza kalciurię. Korzyści te utrzymują się w obserwacji długoterminowej.

Nie udało się natomiast dotychczas wykazać, że terapia:

- zmniejsza częstość kamicy nerkowej lub nefrokalcynozy,
- hamuje progresję przewlekłej choroby nerek lub zapobiega schyłkowej niewydolności nerek,
- zmniejsza liczbę hospitalizacji z powodu zaburzeń gospodarki wapniowej,
- zmniejsza ryzyko złamań,
- redukuje zdarzenia sercowo-naczyniowe,
- poprawia przeżycie.

Obserwowana poprawa eGFR jest obiecująca, ale nie stanowi jeszcze dowodu nefroprotekcji ani poprawy twardych nerkowych punktów końcowych.

Badanie PaTHway ma wiele ograniczeń. Uczestnicy i badacze byli zaślepieni pod względem przydziału do grupy, ale ze względów bezpieczeństwa byli

świadomości stosowanych dawek wapnia i aktywnej witaminy D. Znaczne zmniejszenie stosowania terapii konwencjonalnej u uczestników leczonych pelopegteryparatydem mogło prowadzić do funkcjonalnego „odślepienia” i przyczynić się do zmian w wynikach punktów końcowych raportowanych przez pacjentów. Okres obserwacji był zbyt krótki, aby ocenić wystąpienie powikłań, które może być zmniejszone w wyniku stosowania terapii zastępczej PTH, w porównaniu do stosowania terapii konwencjonalnej (np. przypadki kamicy nerkowej, przewlekłej choroby nerek, zaćmy i in.).

Wytyczne kliniczne

Wytyczne ESE 2025 zalecają terapię substytucyjną PTH u pacjentów z przewlekłą niedoczynnością przytarczyc (HypoPT), u których pomimo optymalnego leczenia aktywną witaminą D (lub jej aktywnymi metabolitami) oraz odpowiedniej podaży wapnia nadal występują objawy przedmiotowe lub podmiotowe choroby (niska jakość dowodów naukowych; silna rekomendacja).

Według wytycznych PTE 2026, terapię PTH powinno się rozważać u chorych na HypoPT, u których leczenie konwencjonalne nie zapewnia dostatecznej kontroli lub wiąże się z istotnymi działaniami niepożądanymi, ostrymi lub przewlekłymi. Stanowisko nie zaleca konkretnie stosowania palopegteryparatydu, natomiast wskazuje, że „w listopadzie 2023 roku EMA, a w sierpniu 2024 roku amerykańska FDA zarejestrowały nowy analog hormonu przytarczyc: palopegteryparatyd (TransCon PTH; Yorvipath) do leczenia HypoPT u osób dorosłych”.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, stosowanie leku Yorvipath dodanego do SoC w miejsce samej SoC jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla tego porównania wyniósł w wariancie z uwzględnieniem RSS [redacted], a w wariancie bez uwzględnienia RSS – 2 422 518 PLN/QALY. W obydwu przypadkach wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji.

Zgodnie z wynikami analizy wnioskodawcy, sumaryczne koszty inkrementalne wyniosą z perspektywy NFZ [redacted] w I roku i [redacted] w II roku refundacji w wariancie z uwzględnieniem RSS (18,82 mln PLN w I roku i 41,61 mln PLN w II roku w wariancie bez RSS). Wydatki na finansowanie leku Yorvipath we wnioskowanym wskazaniu (tylko koszt leku) wyniosą w wariancie z RSS [redacted] i [redacted] odpowiednio w I i II roku obowiązywania decyzji refundacyjnej (w wariancie bez RSS odpowiednio [redacted] i [redacted]).

Po uwzględnieniu danych epidemiologicznych za lata 2022-2025, istnieje możliwość nawet kilkukrotnego niedoszacowania liczebności populacji docelowej w analizie wnioskodawcy.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono trzy rekomendacje pozytywne: francuska HAS, niemiecka G-Ba oraz kanadyjska CDA-AMC (projekt) i dwie rekomendacje negatywne: australijska PBAC i brytyjska NICE (projekt). W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na możliwość zaspokojenia istotnej potrzeby klinicznej oraz wystarczające obserwowane korzyści kliniczne (mimo niepełnej pewności co do wartości klinicznej leku).

W rekomendacjach negatywnych zwraca się głównie uwagę na niepewność modelu ekonomicznego, niepewne dowody kliniczne i ekonomiczne oraz wysoki koszt leczenia. NICE uznał, że palopegteriparatyd jest obiecującą terapią zastępczą PTH dla pacjentów z ciężką, źle kontrolowaną niedoczynnością przytarczyc, ale obecnie dowody kliniczne i ekonomiczne są zbyt niepewne, a koszt leczenia zbyt wysoki, aby rekomendować jego rutynowe finansowanie przez NHS.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, Yorvipath jest finansowany w czterech krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji

- Pomimo wykazanej skuteczności palopegteriparatydu w zakresie normalizacji parametrów biochemicznych i uniezależnienia pacjentów od aktywnej witaminy D oraz dużych dawek wapnia, aktualne dane nie pozwalają z wystarczającą pewnością określić wielkości długoterminowej klinicznej wartości dodanej terapii, w stosunku do zoptymalizowanego leczenia konwencjonalnego.
- Dotychczas nie wykazano wpływu na najważniejsze twarde punkty końcowe, a zasadniczy materiał porównawczy pochodzi z niewielkiego 26-tygodniowego RCT. Brak wyników badań wykazujących zmniejszenie przez palopegteriparatyd ryzyka progresji przewlekłej choroby nerek lub schyłkowej niewydolności nerek, częstości kamicy i nefrokalcynozy, złamań, poważnych zdarzeń sercowo-naczyniowych, hospitalizacji czy śmiertelności.
- Zaproponowane kryteria kwalifikacji do programu lekowego są zbyt szerokie, częściowo arbitralne i obejmują grupy niewystarczająco reprezentowane lub wyłączone z kluczowego badania klinicznego.
- Największą wątpliwość budzi kryterium obejmujące celiakię, IBD, stan po leczeniu bariatrycznym oraz stosowanie szerokich grup leków wpływających na metabolizm witaminy D lub homeostazę wapniową. Znaczna część pacjentów z klinicznie istotnymi zaburzeniami wchłaniania, aktywną chorobą jelit lub po gastric bypass była wyłączana z kluczowego badania PaTHway. Proponowane kryterium rozszerza refundację właśnie na populację, dla której brak bezpośredniego potwierdzenia skuteczności w badaniu stanowiącym podstawę rejestracji.

- *W związku z powyższymi wątpliwościami, bardzo wysoki koszt terapii oraz jej potencjalnie wieloletni charakter wywołują istotne obawy co do efektywności wykorzystania środków publicznych.*
- *Lek nie jest refundowany w większości krajów UE i EFTA.*

Uwaga Rady:

Ponowna ocena zasadności finansowania mogłaby być rozważona po istotnym zawężeniu populacji docelowej, uzyskaniu korzystniejszych warunków cenowych oraz pojawieniu się bardziej wiarygodnych danych dotyczących długoterminowej klinicznej wartości dodanej terapii.

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.4131.7.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Yorvipath (palopegteryparatyd) we wskazaniu: Leczenie pacjentów z niedoczynnością przytarczyc (ICD-10: E20.0, E20.8, E20.9, E89.2)”, data ukończenia: 4 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (ER-KIM Pharmaceuticals Poland sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem ER-KIM Pharmaceuticals Poland 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: ER-KIM Pharmaceuticals Poland sp. z o.o.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 136/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Vyvgart (efgartigimod alfa) w ramach programu
lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii
(ICD-10: G70.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart (efgartigimod alfa), roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 1000 mg, 1 amp.-strzyk., GTIN: 04150197302503, w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem pogłębienia instrumentu dzielenia ryzyka.

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zarejestrowane wskazanie dla produktu leczniczego Vyvgart obejmuje leczenie uzupełniające do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporaźną (ang. generalized myasthenia gravis, gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (ang. acetylcholine receptor, AChR). Proponowany program lekowy wprowadza dodatkowe kryteria kwalifikacji, co zawęży populację pacjentów względem wskazania rejestracyjnego. Należy jednak zauważyć, że złożony wniosek dotyczy dodania efgartigimodu alfa (EFG) w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych (SC) w ampułkostrzykawce do programu lekowego B.157. Obecnie w programie refundowana jest postać dożylna (IV) tego leku.

Dowody naukowe

EFG IV z EFG SC

Wykazano, że terapia EFG SC nie jest istotnie gorsza od terapii EFG IV. Pierwszorzędowy punkt końcowy badania ADAPT-SC, tj. zmiana całkowitego

stężenia IgG względem wartości wyjściowej w 4. tygodniu, został osiągnięty. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy EFG SC i EFG IV w zakresie zmiany od wartości wyjściowej wyników ciężkości choroby w skali MG-ADL do 10. tygodnia badania. Klinicznie istotną poprawę (≥ 2 pkt w skali MG-ADL) obserwowano w całym okresie obserwacji, tj. do 10 tyg. dla EFG SC i EFG IV. Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy w zakresie zmiany od wartości wyjściowej wyników ciężkości choroby w skali QMG w trakcie obserwacji, z wyjątkiem 3. tygodnia, w którym wykazano istotną statystycznie przewagę EFG SC. Klinicznie istotną poprawę (≥ 3 punkty w skali QMG) obserwowano po tygodniu oraz dwóch od pierwszego podania odpowiednio w ramieniu EFG SC i EFG IV. CMI utrzymywała się do 8. tyg. łącznie. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy EFG SC i EFG IV w zakresie odsetka pacjentów AChR-Ab+ osiągających odpowiedź w skali MG-ADL, QMG do 10. tygodnia analizy oraz osiągających MSE w dowolnym punkcie czasowym.

EFG SC vs. RAW

W przeprowadzonym porównaniu pośrednim metodą Buchera wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść EFG SC względem RAW w zakresie zmian wartości w skali MG-ADL i QMG w 4. tygodniu. Nie odnotowano istotnej statystycznie różnicy pomiędzy porównywanymi interwencjami w 10. tygodniu analizy.

EFG SC vs. ROZ

W przeprowadzonym porównaniu pośrednim metodą Buchera wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść EFG SC względem ROZ w zakresie zmian wartości w skali QMG w 4./6. tygodniu analizy oraz odsetka pacjentów z poprawą całkowitego wyniku w skali QMG o co najmniej 3 punkty względem wartości wyjściowej w 4./6. tygodniu analizy. Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy dla punktów końcowych związanych z oceną w skali MG-ADL.

Analiza bezpieczeństwa

EFG IV vs. EFG SC

Wykazano istotne statystycznie różnice na niekorzyść EFG SC względem EFG IV w zakresie zdarzeń niepożądanych związanych z leczeniem (TEAE), miejscowych reakcji w miejscu wstrzyknięcia (ISR), wysypki w miejscu wstrzyknięcia, zaostrzeń objawów miastenii i rumienia w miejscu wstrzyknięcia. Nie odnotowano istotnych statystycznie różnic między ramionami badania w zakresie pozostałych punktów końcowych związanych z bezpieczeństwem. Zdarzenia niepożądane odnotowano u 67,3% pacjentów w ramieniu EFG SC i 50,9% w ramieniu EFG IV. W badaniu nie odnotowano żadnego zgonu. Odnotowano 2 zdarzenia niepożądane prowadzące do przerwania stosowania EFG SC. Najczęstsze zdarzenia niepożądane u pacjentów przyjmujących

EFG SC to miejscowe reakcje w miejscu wstrzyknięcia (38,2%; miały wyłącznie nasilenie łagodne lub umiarkowane).

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono dziewięć zagranicznych konsensusów ekspertów dotyczących leczenia miastonii, w tym gMG u pacjentów z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (ABN 2025, HNS 2025, SSN 2024, AWMF 2024, PNS 2026, SANEM 2025, De Bleecker 2024a, Fionda 2026, Gilhus 2024).

Ze względu na fakt, że efgartigimod alfa jest już obecnie refundowany w ramach programu lekowego B.157, a przedmiot niniejszego zlecenia dotyczy wyłącznie rozszerzenia zakresu refundacji o dodatkową drogę podania, odnalezione wytyczne przeanalizowano w kontekście informacji dotyczących efgartigimodu alfa SC.

Pięć wytycznych (ABN 2025, SSN 2024, AWMF 2024, PNS 2026, Fionda 2026) odnosi się do efgartigimodu alfa SC, przy czym zawarte w nich informacje dotyczą wyłącznie dostępnych schematów dawkowania. W wytycznych praktyki klinicznej EFG SC i EFG IV są przedstawiane jako dwie postaci EFG, stosowane w tej samej populacji i zajmujące to samo miejsce w ścieżce leczenia. Wytyczne nie wskazują na przewagę kliniczną EFG SC lub EFG IV.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Vyvgart S.C. w ampułkostrzykawce w wariancie podstawowym będzie wiązało się

z dodatkowymi kosztami w wariancie z RSS oraz wzrostem wydatków NFZ o ok. 11,54 mln PLN w I roku i o ok. 46,78 mln PLN w II roku refundacji w wariancie bez RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Zidentyfikowano cztery rekomendacje pozytywne dotyczące podskórnej postaci efgartigimodu alfa w leczeniu gMG. Dotyczyły one rozszerzenia istniejącej refundacji efgartigimodu alfa o postać podskórną w formie roztworu do wstrzykiwań w fiolce (HAS 2024, PBAC 2025) i roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (HAS 2025, PBAC 2026). Ponadto zidentyfikowano trzy rekomendacje dotyczące efgartigimodu alfa w postaci dożylniej i podskórnej (oceniano objęcie finansowaniem publicznym efgartigimodu alfa niezależnie od drogi podania) w leczeniu gMG: dwie rekomendacje negatywne (NICE 2025, NT-rådets 2024) oraz jedną rekomendację pozytywną warunkową (Infarmed 2026).

W pozytywnych rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na równowagę terapeutyczną postaci podskórnych efgartigimodu alfa (w fiolce i ampułkostrzykawce) względem postaci dożylniej (PBAC 2025, PBAC 2026) oraz

korzyść terapeutyczną postaci podskórnych, jednak nie wykazano dodatkowej korzyści terapeutycznej w porównaniu z wcześniej dostępnymi postaciami tego samego leku (HAS 2024, HAS 2025).

W rekomendacji pozytywnej warunkowo zwraca się uwagę na konieczność wynegocjowania korzystniejszych warunków finansowania (Infarmed 2026). W negatywnych rekomendacjach wskazano, że terapia jest nieefektywna kosztowo (NICE 2025, NT-rådets 2024).

Główne argumenty decyzji

- Wyniki badań klinicznych oraz zalecenia i wytyczne towarzystw naukowych;
- Pozytywne decyzje refundacyjne w innych krajach UE.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DOWM.4131.7.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Vyvgart (efgartigimod alfa SC) w ramach programu lekowego B.157 »Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)«”, data ukończenia: 03.09.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Medison Pharma 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: Medison Pharma Sp. z o.o.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 131/2026 z dnia 14 września 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej Gminy Ostrowiec
Świętokrzyski w zakresie rehabilitacji wad postawy u dzieci
i młodzieży szkół podstawowych na lata 2026-2029”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej Gminy Ostrowiec Świętokrzyski w zakresie rehabilitacji wad postawy u dzieci i młodzieży szkół podstawowych na lata 2026-2029”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez gminę Ostrowiec Świętokrzyski: „Program polityki zdrowotnej Gminy Ostrowiec Świętokrzyski w zakresie rehabilitacji wad postawy u dzieci i młodzieży szkół podstawowych na lata 2026-2029”.

Planowane koszty całkowite zostały oszacowane na kwotę 480 600 zł. Program ma być realizowany w latach 2026-2029. Program ma zostać sfinansowany ze środków gminy Ostrowiec Świętokrzyski, przy ewentualnym dofinansowaniu ze środków NFZ.

Celem głównym programu jest: „Zmniejszenie nasilenia zaburzeń postawy ciała oraz poprawa parametrów funkcjonalnych, w tym zakresu ruchu, siły mięśniowej i równowagi, u co najmniej 30% uczestników Programu - dzieci i młodzieży szkół podstawowych zamieszkałych na terenie Gminy Ostrowiec Świętokrzyski poprzez realizację w latach 2026-2029 kompleksowych działań diagnostycznych, rehabilitacyjnych i edukacyjnych, potwierdzone poprawą parametrów postawy ciała i funkcji układu ruchu względem stanu wyjściowego, ocenianą za pomocą badań kontrolnych i testów funkcjonalnych właściwych dla rozpoznanej wady postawy. Efekt programu uznaje się za osiągnięty w przypadku stwierdzenia poprawy w co najmniej 3 z 5 ocenianych parametrów funkcjonalnych i posturalnych”.

Program będzie skierowany do dzieci i młodzieży zamieszkujących i uczęszczających do szkół podstawowych na terenie gminy Ostrowiec Świętokrzyski, ze stwierdzoną wadą postawy potwierdzoną przez lekarza podstawowej opieki zdrowotnej lub lekarza specjalistę. Liczebność tej grupy wynosi 1 594 uczniów, co stanowi 37,1% ogółu populacji uczniów szkół podstawowych (4 297 osób). Program z kolei zakłada objęcie świadczeniami około 50 dzieci rocznie. W zakresie pozostałych interwencji wnioskodawca założył, że działaniami edukacyjnymi zostanie objęte po jednym rodzicu lub opiekunie prawnym dziecka zakwalifikowanego do programu (tj. również 150 osób) oraz nauczyciele szkół podstawowych z terenu gminy, w szczególności nauczyciele wychowania fizycznego i wychowawcy klas (60 osób).

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada przeprowadzenie:

- Wizyty fizjoterapeutycznej początkowej – podczas której nastąpi kwalifikacja do Programu (realizowana przez fizjoterapeutę), określenie punktu wyjścia i zaplanowanie postępowania terapeutycznego.
- Kinezyterapii indywidualnej – zakres oraz rodzaj ćwiczeń zostanie dobrany indywidualnie do wieku dziecka, rodzaju i stopnia nasilenia zaburzeń postawy, wyników oceny funkcjonalnej oraz możliwości psychofizycznych uczestnika. W trakcie kinezyterapii indywidualnej fizjoterapeuta będzie prowadził instruktaż ćwiczeń do samodzielnego wykonywania w warunkach domowych oraz monitorował poprawność ich wykonywania.
- Edukacji zdrowotnej dzieci – działania edukacyjne realizowane będą w formie jednego, grupowego spotkania trwającego ok. 45 minut. Grupa edukacyjna może składać się z maksymalnie 20 uczniów. Ocena poziomu wiedzy zostanie dokonana zarówno przed, jak i po zrealizowaniu działań edukacyjnych. Podstawę oceny stanowić będzie test wiedzy.
- Edukacji zdrowotnej rodziców/opiekunów – działania edukacyjne realizowane będą w formie 1 grupowego spotkania trwającego ok. 45 minut. Grupa edukacyjna może składać się z maksymalnie 20 osób. Również w tym przypadku zostanie dokonana ocena poziomu wiedzy w ww. sposób.
- Szkolenia nauczycieli w zakresie profilaktyki wad postawy. Działania edukacyjne realizowane będą w formie jednego grupowego spotkania trwającego 90 minut. Grupa edukacyjna może składać się z maksymalnie 20 nauczycieli. Również w tym przypadku zostanie dokonana ocena poziomu wiedzy w ww. sposób.
- Wizyty fizjoterapeutycznej końcowej realizowanej w ostatnim dniu udziału dziecka w Programie, dzieci zostaną poddane ponownej ocenie postawy oraz funkcji z zastosowaniem tych samych lub porównywalnych narzędzi diagnostycznych wykorzystanych w ramach wizyty początkowej. W ramach

wizyty tej przeprowadzona zostanie także ocena stopnia realizacji indywidualnego planu interwencji i osiągnięcia założonych celów terapeutycznych. Kolejnym elementem zaplanowanej wizyty fizjoterapeutycznej jest także uformowanie zindywidualizowanych zaleceń dotyczących dalszego postępowania po zakończeniu udziału dziecka w Programie, w tym ewentualnych wskazań do dalszej diagnostyki lub rehabilitacji.

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

Dopuszcza się zakończenie udziału w programie na każdym jego etapie.

W projekcie PPZ wnioskodawca opisał problem zdrowotny, którego dotyczy planowany PPZ. Projekt posiada cel główny oraz 3 cele szczegółowe. W ramach projektu jego autor wskazał na kryteria włączenia do projektu (w zależności od grupy docelowej uczestników korzystających z poszczególnych interwencji), a także kryteria wyłączenia z programu. W projekcie opisano sposób zakończenia udziału w programie, jak również zaproponowano 4 mierniki efektywności. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarabkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym.

Eksperci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Rekomendacje potwierdzają zasadność prowadzenia działań z zakresu kinezyterapii. Eksperci potwierdzają także zasadność prowadzenie działań edukacyjnych w ramach PPZ - powinny one dotyczyć zarówno dzieci, jak i rodziców/opiekunów prawnych oraz kadry pedagogicznej. Takie wnioski płyną także z rekomendacji. Programy polityki zdrowotnej powinny być poprzedzone analizą potrzeb zdrowotnych danej populacji i według tych analiz kierowane do danej populacji ze szczególnym uwzględnieniem osób w wieku produkcyjnym.

Zgodnie z odnalezionymi informacjami na terenie miasta Ostrowiec Świętokrzyski 7 świadczeniodawców ma podpisaną umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej. Natomiast brak jest świadczeniodawców z podpisaną umową z NFZ na realizację świadczeń z zakresu leczenia wad postawy u dzieci i młodzieży.

W uzasadnieniu potrzeby wdrożenia opiniowanego projektu PPZ wnioskodawca wskazał między innymi, że „mimo obecności ośmiu świadczeniodawców w Ostrowcu Świętokrzyskim dostępność świadczeń pozostaje ograniczona. Kolejki oraz długi czas oczekiwania utrzymują się, co wskazuje na znaczące potrzeby mieszkańców w zakresie rehabilitacji leczniczej i korekcji wad postawy”. Podniósł również, że wady postawy u dzieci i młodzieży stanowią istotny problem zdrowotny o charakterze rozwojowym, wymagający wczesnej diagnostyki i systematycznej interwencji. Skuteczność leczenia zależy od szybkiego wykrycia nieprawidłowości oraz zapewnienia dostępnej i ciągłej rehabilitacji, dostosowanej do potrzeb populacji pediatrycznej.

Uwagi Rady:

- Cel główny składa się z dwóch założeń, nadto zarówno w zakresie celu głównego, jak i celów szczegółowych - nie przedstawiono uzasadnienia dla podanej wartości docelowej.*
- Miernik nr 1 zakłada jednoczesny pomiar dwóch odmiennych kwestii („parametrów postawy ciała lub funkcji układu ruchu”).*

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.431.56.2026 „Program polityki zdrowotnej Gminy Ostrowiec Świętokrzyski w zakresie rehabilitacji wad postawy u dzieci i młodzieży szkół podstawowych na lata 2026-2029” realizowany przez: Gminę Ostrowiec Świętokrzyski, Warszawa, wrzesień 2026 oraz Aneksów do raportów szczegółowych: „Programy profilaktyki i korekcji wad postawy u dzieci – wspólne podstawy oceny”, z marca 2018 r. i „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 132/2026 z dnia 14 września 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych
społecznie od urodzenia do 6. roku życia na Dolnym Śląsku”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 6. roku życia na Dolnym Śląsku”.

Uzasadnienie

PPZ dotyczy: dzieci do ukończenia 6 roku życia zamieszkujących teren województwa dolnośląskiego lub przebywających w placówkach opiekuńczych na terenie województwa dolnośląskiego, pochodzących z grup defaworyzowanych z wadą rozwojową lub podejrzeniem zaburzenia rozwoju:

- *grupa I – dzieci przebywające na oddziałach noworodkowych, oddziałach intensywnej terapii lub oddziałach o profilu pediatrycznym i wymagające długotrwałej hospitalizacji;*
- *grupa II – dzieci w opiece ambulatoryjnej w zakresie e-konsylium, badań dodatkowych oraz diagnozy neurorozwojowej (500 osób rocznie);*
- *opiekunowie prawni dzieci włączonych do programu, opiekunowie (wykonawcy zatrudnieni w ośrodku, w którym przebywa dziecko oraz lekarze, fizjoterapeuci, logopedzi, psychologowie, pielęgniarki, położne) zatrudnieni na terenie województwa dolnośląskiego w zakresie możliwości udziału w konferencji (konferencja – ok. 100 osób rocznie, wsparcie ok. 500 osób rocznie).*

Interwencje obejmują:

- *działania organizacyjne i promujące program;*
- *konsultacje w ramach e-konsylium specjalistów (z udziałem 3 do 7 specjalistów średnio 10 pacjentów na konsylium zbierającym się średnio raz w tygodniu, 50 e-konsylium rocznie);*

- *ustalenie ścieżki diagnostyczno-terapeutycznej i zakresu opieki spersonalizowanej;*
- *diagnostyczne świadczenia zdrowotne, w tym:*
 - *szerokoprzepustowe badanie genetyczne metodą NGS;*
 - *badania USG: serca, przeziemiączkowe jamy brzusznej, szwów czaszkowych, kanału kręgowego (około 50 badań USG rocznie);*
 - *specjalistyczne badanie okulistyczne (około 50 badań rocznie);*
 - *lekarska konsultacja (750 konsultacji dla pacjentów);*
 - *konsultacja i diagnoza terapeutyczna;*
 - *wsparcie psychologiczne dziecka i opiekunów (około 650 konsultacji rocznie i około 100 diagnoz rocznie);*
- *diagnoza neurorozwoju, w tym:*
 - *diagnoza integracji sensorycznej SI (około 50 rocznie);*
 - *diagnoza na podstawie Autism Observation Schedule (jedno spotkanie z certyfikowanym terapeutą oraz jedno spotkanie z psychiatrą zakończone wydaniem diagnozy / około 50 diagnoz rocznie);*
 - *diagnoza psychologiczna (około 100 konsultacji rocznie);*
 - *diagnoza fizjoterapeutyczna (około 100 konsultacji rocznie);*
 - *diagnoza logopedyczna (około 100 konsultacji rocznie);*
- *wsparcie formalno-logistyczne;*
- *wsparcie psychologiczne;*
- *konferencje.*

Czas realizacji PPZ – 36 miesięcy.

Koszty całkowite – 4 032 254 zł (1 344 118 zł rocznie).

Źródła finansowania – środki UE.

Agencja opiniowała 2 podobne PPZ dotyczące wad rozwojowych u dzieci defaworyzowanych województwa dolnośląskiego.

Program Polityki Zdrowotnej w zakresie wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku otrzymał opinię negatywną nr 12/2026 z dnia 5 lutego 2026.

Program Polityki Zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku otrzymał opinię negatywną nr 31/2026 z dnia 30 kwietnia 2026 roku.

Większość uwag zawartych w opinii Prezesa AOTMiT z dnia 30 kwietnia 2026 r. w obecnym Programie została nieuwzględniona lub uwzględniona częściowo.

Główne argumenty decyzji:

- Nie przedstawiono jednego problemu zdrowotnego, a szeroki zakres problemów zdrowotnych odnoszących się do wad rozwoju oraz chorób rzadkich w populacji niemowląt i dzieci;
- Przedstawiono 2 zestawy celów programu różniące się od siebie;
- Jeden z celów głównych jest nieprawidłowy – składa się z 2 odrębnych założeń;
- Nie przedstawiono prawidłowego uzasadnienia założonych wartości docelowych celów głównych;
- Cele szczegółowe budzą zastrzeżenia (13 z 14);
- Większość wskaźników nie spełnia funkcji mierników efektywności;
- Dołączone do projektu testy wiedzy budzą zastrzeżenia ze względu na deklaracyjny charakter części pytań;
- Przedstawiono bardzo szeroki katalog „wrodzonych wad rozwoju lub podejrzeń wrodzonych zaburzeń”;
- Zapis dotyczący włączenia dzieci z „podejrzeniem wrodzonych zaburzeń” wydaje się nieprecyzyjny;
- Część interwencji została opisana zbyt ogólnie;
- Sposób zakończenia udziału w PPZ opisano pobieżnie;
- Zastrzeżenia budzi część wskaźników monitorowania zgłaszalności;
- Zastrzeżenia budzi ankieta satysfakcji;
- Niewielka liczba prawidłowo sformułowanych mierników efektywności utrudnia kompleksową ewaluację programu;
- Nie wskazano kosztów jednostkowych badań USG;
- Jako jedyne źródło finansowania wskazano „środki UE”, co nie jest zapisem prawidłowym.

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.451.57.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 6. roku życia na Dolnym Śląsku” realizowany przez: Województwo Dolnośląskie, Warszawa, wrzesień 2026 oraz Aneksów „Wczesna diagnostyka i terapia zaburzeń ze spektrum autyzmu (ASD) - wspólne podstawy oceny” z kwietnia 2017 r., „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r. i Raportów: nr OT.431.24.2025 dot. projektu PPZ pn. „Program fizjoterapeutycznych wizyt patronażowych w Gminie Trzebownik w latach 2025-2029” z maja 2025 r., nr OT.431.81.2023 dot. projektu PPZ pn. „Kompleksowa diagnostyka w zakresie spektrum płodowego zespołu alkoholowego na terenie Województwa Dolnośląskiego” z grudnia 2023 r., nr DPPZ.431.43.2025 dot. projektu PPZ pn. „Program polityki zdrowotnej w zakresie diagnostyki wad i zaburzeń rozwojowych u dzieci defaworyzowanych społecznie od urodzenia do 18 roku życia na Dolnym Śląsku” ze stycznia 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 133/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
sirolimus w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną sirolimus, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.:

- 1. stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek,*
- 2. stwardnienie guzowe; limfangioleiomiomatoza, nowotwór z epithelioidalnych komórek przynaczyniowych,*
- 3. cytopenie lub limfoproliferacja nienowotworowa (splenomegalia, limfadenopatia) w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacjach immunologicznych, np. haploinsuficencji CTLA4) w sytuacji: oporności na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach lub w ciężkich przypadkach – w pierwszej linii leczenia wspólnie ze sterydami lub jako jedyny celowany lek modyfikujący przebieg choroby,*
- 4. zespół gumiastych zmian barwnikowych,*
- 5. angiomatoza,*
- 6. Zespół Klippela-Trénaunaya.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Większość z ocenianych wskazań była wcześniej przedmiotem oceny Agencji i aktualnie wciąż obowiązują pozytywne decyzje o ich finansowaniu off-label:

- stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek – Opinia RP nr 13/2025 z dnia 13.01.2025, data obowiązywania decyzji 13.01.2028;
- stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epithelioidnych komórek przynaczyniowych - Opinia RP nr 26/2025 z dnia 10.02.2025, data obowiązywania decyzji 10.02.2028;
- cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego - odporne na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach - Opinia RP nr 136/2025 z dnia 04.08.2025, data obowiązywania decyzji 04.08.2028;
- zespół gumiastych zmian barwnikowych - Opinia RP nr 35/2025 z dnia 16.03.2026, data obowiązywania decyzji 16.03.2029;
- angiomatoza - Opinia RP nr 9/2026 z dnia 26.01.2026, data obowiązywania decyzji 26.01.2029;
- Zespół Klippela-Trénaunaya - Opinia RP nr 41/2025 z dnia 10.03.2025, data obowiązywania decyzji 10.03.2028.

W ramach niniejszego zlecenia nastąpiło rozszerzenie jednego ze wskazań:

- cytopenie lub limfoproliferacja nienowotworowa (splenomegalia, limfadenopatia) w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacjach immunologicznych, np. haploinsuficencji CTLA4) w sytuacji: - oporności na stosowanie steroidów lub przy zbyt nasilonych objawach niepożądanych przewlekłej steroidoterapii w wysokich dawkach lub w ciężkich przypadkach – w pierwszej linii leczenia wspólnie ze sterydami lub jako jedyny celowany lek modyfikujący przebieg choroby.

Dowody naukowe

Limfoproliferacja nienowotworowa jest nadmiernym, ale niezłośliwym rozrostem lub nagromadzeniem komórek układu limfatycznego, manifestującym się przede wszystkim limfadenopatią, splenomegalią, hepatomegalią lub naciekami limfocytarnymi w narządach. Może mieć charakter reaktywny albo wynikać z wrodzonych zaburzeń regulacji odporności, takich jak ALPS, niedobór CTLA-4, LRBA lub APDS. Przebieg może być przewlekły i nawrotowy, z ryzykiem cytopenii, zakażeń, uszkodzenia narządów oraz rozwoju klonalnej proliferacji lub chłoniaka, dlatego konieczna jest długoterminowa obserwacja. Sirolimus wydaje się najbardziej skuteczny u pacjentów z ALPS, zespołem Evansa oraz wtórnymi i wieloliniowymi cytopeniami autoimmunologicznymi. Może zapewniać szybką i trwałą odpowiedź hematologiczną, ograniczać limfadenopatię i splenomegalię oraz umożliwiać redukcję lub odstawienie kortykosteroidów i innych leków immunosupresyjnych. W haploinsuficencji CTLA-4 sirolimus może przynosić

korzyści w zakresie limfoprolifracji, cytopenii i zajęcia narządowego, jednak odpowiedź nie występuje u wszystkich pacjentów. Skuteczność jest natomiast wyraźnie mniejsza w przypadku izolowanej pierwotnej małopłytkowości immunologicznej.

Wiarygodność wniosków ograniczają małe liczebności populacji, brak randomizacji i grup kontrolnych, retrospektywny charakter dwóch badań oraz znaczna heterogeniczność kliniczna pacjentów. Wyniki stanowią jednak spójne przesłanki wskazujące na szczególną przydatność sirolimusu w cytopeniach współistniejących z szerszym fenotypem dysregulacji immunologicznej i nienowotworowej limfoprolifracji.

Wytyczne dotyczące wrodzonych błędów odporności wskazują, że bezobjawowa i niepowodująca dysfunkcji narządowych limfoprolifracja nie wymaga leczenia. W przypadku objawowych cytopenii autoimmunizacyjnych leczeniem pierwszego rzutu są glikokortykosteroidy, natomiast w przypadkach opornych lub wymagających długotrwałej steroidoterapii zaleca się rozważenie leczenia immunosupresyjnego. Dane dotyczące niedoboru CTLA-4 wskazują, że sirolimus może być skuteczny u części chorych z objawową limfadenopatią, splenomegalią lub naciekami limfocytarnymi narządów, jednak dostępne dowody pochodzą głównie z małych serii przypadków. Wytyczne podkreślają konieczność indywidualizacji leczenia z uwzględnieniem ryzyka zakażeń charakterystycznych dla danego defektu immunologicznego.

W aktualnych rekomendacjach sirolimus jest uznawany za jedno z podstawowych długoterminowych leceń oszczędzających kortykosteroidy u chorych na ALPS. Terapia prowadzi do zmniejszenia limfadenopatii i splenomegalii oraz poprawy parametrów immunologicznych, wykazując większą skuteczność w kontroli limfoprolifracji niż mykofenolan mofetylu. Eksperci podkreślają konieczność unikania splenektomii i rytuksymabu ze względu na ryzyko ciężkich powikłań, a sirolimus jest rekomendowany jako preferowana opcja leczenia przewlekłego. Leczenie wymaga monitorowania stężeń leku i działań niepożądanych.

Główne argumenty decyzji

- Poprzednie pozytywne opinie Rady Przejrzystości w odniesieniu do refundowanych już wskazań;
- Brak nowych dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;
- Pozytywne rekomendacje kliniczne i wyniki badań wskazujące na skuteczność w odniesieniu do proponowanego wskazania;
- Ugruntowana od lat pozycja leku w leczeniu wnioskowanych schorzeń;

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna, tj. brak alternatywnych terapii o podobnym, unikalnym mechanizmie działania;*
- *Prawdopodobnie brak wpływu na budżet płatnika.*

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 na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OTAD.415.5.2026 „Sirolimusum we wskazaniach: stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek; stwardnienie guzowate; limfangioleiomiomatoza; nowotwór z epiteloidalnych komórek przynaczyniowych; cytopenie lub limfoproliferacja nienowotworowa (splenomegalia, limfadenopatia) w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego zespół gumiatych zmian barwnikowych; angiomatoza; Zespół Klippela-Trénaunaya”, data ukończenia: 10 września 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 134/2026 z dnia 14 września 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
mycophenolas mofetil w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.:

- 1. steroidozależny zespół nerczycowy; cyklosporynozależny zespół nerczycowy; nefropatia toczniowa; zapalenie naczyń; toczeń rumieniowaty układowy; twardzina układowa; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek; neuropatia zapalna; miopatia zapalna,*
- 2. steroidooporny zespół nerczycowy; nefropatia IgA,*
- 3. choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacji immunologicznych,*
- 4. miastenia.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rada Przejrzystości opiniowała w przeszłości zasadność refundacji leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil w tytułowych wskazaniach, ostatnio w opiniach nr 165/2024 (pkt. 1 i 2 tytułowych wskazań), 135/2025 (pkt. 3 tytułowych wskazań) i 27/2024 (pkt. 4 tytułowych wskazań).

Niniejsza opinia ma za zadanie kompleksową ocenę zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną mycophenolas mofetil, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, w świetle

aktualnych wytycznych klinicznych, oraz danych naukowych dotyczących skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa leku.

Dowody naukowe

Mycophenolas mofetil to lek immunosupresyjny i immunomodulujący wykazujący efekt cytostatyczny w stosunku do limfocytów, od lat powszechnie stosowany w chorobach o podłożu autoimmunologicznym. W schematach i algorytmach leczniczych, w zależności od jednostki chorobowej, pozycjonowany jest jako lek pozwalający ograniczyć steroidoterapię, alternatywa dla innych cytostatyków, lek immunosupresyjny pierwszego rzutu, lub kolejnego wyboru w razie nieskuteczności i nietolerancji innych leków immunosupresyjnych.

Od wydania poprzednich opinii Rady Przejrzystości w przedmiotowej sprawie, nie pojawiły się nowe wytyczne kliniczne ani wyniki badań naukowych, wskazujących na konieczność zmiany pozytywnej opinii Rady.

Główne argumenty decyzji

- *Pozytywne rekomendacje kliniczne;*
- *Brak dowodów naukowych wskazujących na konieczność zmiany poprzedniego wnioskowania Rady;*
- *Prawdopodobnie brak wpływu na budżet płatnika.*

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 na potrzeby oceny zasadności objęcia refundacją leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego nr: OTAD.415.4.2026 „Mycophenolas mofetil we wskazaniach: steroidozależny zespół nerczycowy; cyklosporynozależny zespół nerczycowy; nefropatia toczniowa; zapalenie naczyń; toczeń rumieniowaty układowy; twardzina układowa; stan po przeszczepie kończyny, rogówki, tkanek lub komórek; neuropatia zapalna; miopatia zapalna; steroidooporny zespół nerczycowy; nefropatia IgA; choroby autoimmunizacyjne u pacjentów z niedoborami odporności; cytopenie w przebiegu autoimmunizacyjnego zespołu limfoproliferacyjnego oraz innych wrodzonych dysregulacji immunologicznych; miastenia”, data ukończenia: 10 września 2026 r.