



DOR.001.38.2026.MKZ

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 40/2026
w dniu 28 września 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 09:55.

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

1. Małgorzata Bała
2. Robert Bryzek
3. Anna Czerniecka-Kubicka
4. Roman Junik
5. Marcin Lipowski
6. Tomasz Pasierski
7. Jacek Rubik
8. Anna Socha-Banasiak

Członkowie Rady nieobecni przy rozpoczęciu posiedzenia:

1. Małgorzata Dziedziak

Członkowie Rady nieobecni podczas posiedzenia:

1. Marcin Kołakowski

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Wegovy (semaglutidum) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Akeega (niraparibum + abirateroni acetate) w ramach programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Polpril Nebi (ramiprilum + nebiwololi hydrochloridum) we wskazaniach:
 - nadciśnienie tętnicze samoistne jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, u których ciśnienie tętnicze jest odpowiednio kontrolowane za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;

- przewlekła niewydolność serca jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;
 - choroba wieńcowa jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;
 - nadciśnienie tętnicze samoistne z towarzyszącą przewlekłą niewydolnością serca jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;
 - nadciśnienie tętnicze samoistne z towarzyszącą chorobą wieńcową jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych.
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Porada pielęgniarska – leczenie ran trudno gojących się i przewlekłych” jako świadczenia gwarantowanego.
 6. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenia gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych” jako świadczenia gwarantowanego.
 7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna w przypadku nietolerancji pirydostygminy.
 8. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Xuriden (uridine triacetate) we wskazaniu: encefalopatia padaczkowa typu 50 zależna od urydyny dla indywidualnego pacjenta.
 9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Roman Junik zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Wegovy, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 2 porządku obrad. Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 8 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji podsumował raport dot. leku Wegovy.

Do posiedzenia dołączyła Małgorzata Dziedziak,
która nie zadeklarowała konfliktu interesów.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyły: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Małgorzata Bała, Anna Socha-Banasiak, Tomasz Pasierski i Małgorzata Dziedziak.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za”, przy 1 głosie „wstrzymującym się” z uwagi na zgłoszony konflikt interesów, uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dotyczący leku Akeega.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Jacek Rubik i Marcin Lipowski, a przedstawił Jacek Rubik.

W dyskusji, podczas której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Małgorzata Bała, Marcin Lipowski, Jacek Rubik i Tomasz Pasierski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

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

Głos zabrała Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Anna Czerniecka-Kubicka i Roman Junik, a przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

W dyskusji, w wyniku której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Anna Czerniecka-Kubicka, Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Roman Junik i Jacek Rubik.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia dot. porady pielęgniarskiej z zakresu leczenia ran trudno gojących się i przewlekłych.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Roman Junik i Robert Bryzek.

W dyskusji, podczas której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Tomasz Pasierski, Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Roman Junik.

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

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu w sprawie zakwalifikowania świadczenia dot. leczenia gruźlicy wielolekoopornej.

We wstępnej dyskusji udział wzięli: Małgorzata Dziedziak, Małgorzata Bała, Tomasz Pasierski i Jacek Rubik.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Marcin Kołakowski i Małgorzata Dziedziak, a przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

W dyskusji, w trakcie której doprecyzowano treść uchwały, udział wzięli: Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Tomasz Pasierski.

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

Ad 7. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Mytelase.

We wstępnej dyskusji udział wzięli Marcin Lipowski i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przygotował i przedstawił Marcin Lipowski.

W związku z brakiem dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analityk Agencji podsumował raport w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Xuriden.

Projekt stanowiska Rady przygotował i Przedstawił Robert Bryzek.

W związku z brakiem dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:16.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 138/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Wegovy (semaglutyd) w ramach programu
lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Wegovy (semaglutyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 2,4 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05712249131913;*
- *Wegovy (semaglutyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 1,7 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05712249131920;*
- *Wegovy (semaglutyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 1 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05712249131906;*
- *Wegovy (semaglutyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 0,5 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05712249131975;*
- *Wegovy (semaglutyd), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 0,25 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05712249131890,*

w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stanowisko dotyczy wniosku objęcia refundacją produktu leczniczego: Wegovy (semaglutyd) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)”. Objęcie programem będzie dotyczyło 2 grup chorych: leczenie młodych dorosłych na chorobę otyłościową (A) oraz leczenie pacjentów z chorobą otyłościową w stanie zagrożenia życia (B). Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla leku Wegovy jest zgodne ze wskazaniem rejestracyjnym. Wnioskodawca nie zaproponował RSS.

Światowa Organizacja Zdrowia (ang. World Health Organization, WHO) definiuje nadwagę i otyłość jako nadmierne nagromadzenie tkanki tłuszczowej w organizmie człowieka, które stanowi zagrożenie dla zdrowia. Ponadto uznaje otyłość za poważne wyzwanie dla zdrowia publicznego na całym świecie oraz główny czynnik determinujący niepełnosprawność i śmiertelność w regionie

europejskim. Wskaźnik masy ciała (ang. Body Mass Index, BMI) 25–29,9 kg/m² wskazuje na nadwagę, a ≥ 30 kg/m² – na otyłość.

Na rozwój otyłości wpływają różnorodne czynniki, m.in. środowiskowe, behawioralne, społeczne, genetyczne i epigenetyczne, hormonalne i neurohormonalne oraz psychologiczne.

Otyłość zwiększa ryzyko rozwoju chorób układu sercowo-naczyniowego oraz niektórych nowotworów, które stanowią jedne z głównych przyczyn przedwczesnych zgonów w tej grupie pacjentów. Choroba stanowi również istotny czynnik ryzyka innych poważnych schorzeń, w tym cukrzycy typu 2 (T2D), nadciśnienia tętniczego, dyslipidemii, obturacyjnego bezdechu sennego (OSA), choroby zwyrodnieniowej stawów, nietrzymania moczu, astmy oraz stłuszczeniowej choroby wątroby związanej z dysfunkcją metaboliczną (MASLD).

Ryzyko powikłań i chorób współistniejących związanych z otyłością zwiększa się wraz ze wzrostem wartości BMI, a redukcja masy ciała o 5-10% przynosi istotne korzyści zdrowotne poprzez poprawę przebiegu chorób współistniejących związanych z otyłością, w tym spowolnienie progresji do T2D, oraz poprawę objawów fizycznych i jakości życia.

Wyniki badania Centrum Badania Opinii Społecznej (CBOS) z 2019 r. wskazują, że 59% dorosłych Polaków ma nadmierną masę ciała (co w większym stopniu dotyczy mężczyzn, szczególnie >45 . r.ż.) i odsetek ten zwiększył się w ciągu ostatnich 10 lat o 13%. Według tych danych na otyłość obecnie choruje 21% Polaków, a 38% ma nadwagę. Dane Eurostatu wskazują, że w Polsce w 2022 r. nadwaga lub otyłość występowały łącznie u 57,8% osób w wieku ≥ 16 lat.

Zgodnie z aktualnymi wytycznymi, leczenie choroby otyłościowej opiera się na połączeniu postępowania farmakologicznego i niefarmakologicznego (w tym dieta o obniżonej kaloryczności oraz zwiększona aktywność fizyczna). Leczenie farmakologiczne zaleca się u pacjentów z BMI ≥ 30 kg/m² lub BMI ≥ 27 kg/m² i co najmniej jedną chorobą współistniejącą, w przypadku niewystarczającej skuteczności interwencji niefarmakologicznych.

Komparatorem dla ocenianej technologii jest najlepsza opieka wspomagająca (ang. best supportive care, BSC) rozumiana jako postępowanie niefarmakologiczne obejmujące dietę o obniżonej wartości kalorycznej i zwiększoną aktywność fizyczną oraz postępowanie farmakologiczne (w tym analogi GLP-1 [dulaglutyd, produkty lecznicze zawierające semaglutyd inne niż wnioskowany produkt leczniczy], preparat złożony zawierający insulinę glarginę i liksysenatyd oraz agonistę receptorów GIP i GLP-1 [tirzepatyd]).

Wśród dostępnych opcji terapeutycznych semaglutyd oraz tirzepatyd są wskazywane jako najskuteczniejsze leki przeciwotyłościowe. Do pozostałych opcji farmakoterapii zalicza się liraglutyd, naltrekson z bupropionem, orlistat oraz fenterminę z topiramatem.

Dowody naukowe

Analizę skuteczności i bezpieczeństwa przeprowadzono na podstawie 7 badań RCT (STEP 1, STEP 3, STEP 5, STEP 10, STEP TEENS, STEP-HFpEF, STEP UP), 6 opracowań wtórnych (Liu 2025, Nong 2026, Vienghirun 2026, De Luca 2026, Shi 2024, Barazzoni 2026) oraz 6 badań z rzeczywistej praktyki klinicznej (Disse 2025, Ruseva 2025, Smolderen 2025, Toliver 2025, Ruseva 2026, Talay 2026).

W populacji ogólnej (SEM: N=1306, PLC: N=655) badania STEP 1 istotną statystycznie różnicę na korzyść leczenia semaglutydem w porównaniu do placebo względem wartości wyjściowej do 68. tygodnia raportowano w zakresie wszystkich ocenianych punktów końcowych (estymanda treatment policy, [redacted]):

Procentowa zmiana masy ciała: -14,85 vs -2,41, ETD=-12,44 (-13,37; -11,51), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 5\%$: 86,4 vs 31,5, OR=11,2 (8,9; 14,2), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 10\%$: 69,1 vs 12,0, OR=14,7 (11,1; 19,4), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 15\%$: 50,5 vs 4,9, OR=19,3 (12,9; 28,8), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 20\%$: 32,0 vs 1,7, OR=26,9 (14,2; 51,0);

Obwód talii, cm: -13,54 vs -4,13, ETD=-9,42 (-10,30; -8,53), $p<0,001$;

Skurczowe ciśnienie tętnicze, mm Hg: -6,16 vs -1,06, ETD=-5,10 (-6,34; -3,87), $p<0,001$;

Wynik w skali SF-36 dla funkcjonowania fizycznego: 2,21 vs 0,41, ETD=1,80 (1,18; 2,42), $p<0,001$;

Wynik w skali IWQOL-Lite-CT dla funkcji fizycznych: 14,67 vs 5,25, ETD=9,43 (7,50; 11,35), $p<0,001$;

Zmiana HbA1c, %: -0,45 vs -0,15, EDT=-0,29 (-0,32; -0,26);

Zmiana stężenia glukozy w osoczu na czczo, mg/dL: -8,35 vs -0,48, EDT=-7,87 (-9,04; -6,70).

W populacji ogólnej (SEM N=152, PLC N=152) po 104. tygodniach badania STEP 5 istotną statystycznie różnicę na korzyść leczenia semaglutydem w porównaniu do placebo raportowano w zakresie wszystkich analizowanych punktów końcowych (estymanda treatment policy, [redacted]):

Procentowa zmiana masy ciała: -15,2 vs -2,6, ETD=-12,6 (-15,3; -9,8), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 5\%$: 77,1 vs 34,4, OR=5,0 (3,0; 8,4), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 10\%$: 69,1 vs 12,0, OR=14,7 (11,1; 19,4), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 15\%$: 52,1 vs 7,0, OR=9,4 (4,4; 20,0), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała o $\geq 20\%$: 36,1 vs 2,3, OR=12,8 (3,9; 41,9);

Obwód talii, cm: -14,4 vs -5,2, ETD=-9,2 (-12,2; -6,2), $p<0,001$;

Skurczowe ciśnienie tętnicze, mm Hg: -5,7 vs -1,6, ETD=-4,2 (-7,3; -1,0), $p=0,010$;

Zmiana HbA1c, %: -0,4 vs -0,1, ETD=-0,3 (-0,4; -0,3);

Zmiana stężenia glukozy w osoczu na czczo, mg/dL: -0,4 vs 0,1, ETD=-0,5 (-0,7; -0,4);

Względna zmiana stężenia insuliny na czczo: -32,7 vs -7,2, Szacowana względna różnica procentowa=-27,4 (-39,3; -13,3).

W populacji ogólnej badania STEP 3 (wdrożenie intensywnej modyfikacji stylu życia) (SEM N=407, PLC N=204) istotną statystycznie różnicę na korzyść leczenia semaglutydem w porównaniu do placebo względem wartości wyjściowej do 68. tygodnia raportowano w zakresie punktów końcowych (estymanda treatment policy,):

Procentowa zmiana masy ciała: -16,0 vs -5,7, ETD=-10,3 (-12,0; -8,6), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 5\%$: 86,6 vs 47,6, OR=6,1 (4,0; 9,3), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 10\%$: 75,3 vs 27,0, OR=7,4 (4,9; 11,0), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 15\%$: 55,8 vs 13,2, OR=7,9 (4,9; 12,6), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 20\%$: 35,7 vs 3,7, 13,7 (6,2; 30,3), $P<0,001$;

Obwód talii, cm: -14,6 vs -6,3, ETD=-8,3 (-10,1; -6,6), $p<0,001$;

Skurczowe ciśnienie tętnicze, mm Hg: -5,6 vs -1,6, ETD=-3,9 (-6,4; -1,5), $p=0,001$;

Zmiana HbA1c, %: -0,51 vs -0,27, -0,24 (-0,29; -0,19), $p<0,001$;

Zmiana stężenia glukozy w osoczu na czczo, mg/dL: -6,73 vs -0,65, -6,09 (-8,13; -4,04), $p<0,001$;

Względna zmiana stężenia insuliny na czczo: -32,3 vs -15,0, -20,3 (-30,4; -8,7), $p<0,001$.

Nie wykazano istotnych statystycznie różnic w tej populacji względem wartości wyjściowej w zakresie wyniku w skali SF-36 dla funkcjonowania fizycznego.

W populacji ogólnej (SEM N=138, PLC N=69) badania STEP 10 (populacja osób ze stanem przedcukrzycowym) istotną statystycznie różnicę na korzyść leczenia semaglutydem w porównaniu do placebo względem wartości wyjściowej do 52. tygodnia raportowano w zakresie wszystkich ocenianych w AKL punktów końcowych (estymanda treatment policy, [REDACTED]):

Procentowa zmiana masy ciała: -13,9 (0,7) vs -2,7 (0,6), ETD=-11,2 (-13,0; -9,4), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 5\%$: 111/129 (86) vs 17/66 (26), OR=15,9 (7,5; 33,6), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 10\%$: 95/129 (74) vs 5/66 (8), OR=32,7 (12,0; 89,1), $p<0,001$;

Odsetek uczestników z redukcją masy ciała $\geq 15\%$: 62/129 (48) vs 1/66 (2), OR=52,2 (7,1; 383,1), $p<0,001$;

Obwód talii, cm: -11,1 (0,8) vs -2,8 (0,7), ETD=-8,3 (-10,4; -6,2), $p<0,001$;

Skurczowe ciśnienie tętnicze, mm Hg: -8,8 (1,1) vs -1,0 (1,4), ETD=-7,8 (-11,3; -4,3), $p<0,001$.

W badaniu STEP UP w zakresie punktu końcowego procentowej zmiany masy ciała względem wartości wyjściowej do 72. tygodnia (estymanda treatment policy, [REDACTED]) statystycznie istotną przewagę semaglutylu w dawce 7,2 mg nad placebo raportowano we wszystkich analizowanych subpopulacjach oraz populacji ogólnej. Natomiast istotną przewagę semaglutylu 7,2 mg nad semaglutylem 2,4 mg raportowano w populacjach:

[REDACTED]

Populacja ogólna (SEM 7,2 mg N=1005, SEM 2,4 mg N=201, PLC N=201): -18,7, vs -15,6, ETD= -3,1 (-4,7; -1,6), $p<0,001$.

W badaniu Ruseva 2025 wykazano, że po 12 miesiącach leczenia semaglutylu prowadzi do istotnego zmniejszenia masy ciała w porównaniu z grupą nieleczoną. Większy odsetek pacjentów z grupy badanej osiągnął redukcję masy ciała o $\geq 5\%$, $\geq 10\%$, $\geq 15\%$ i $\geq 20\%$, a prawdopodobieństwo uzyskania tych poziomów redukcji było istotnie wyższe w grupie leczonej (redukcja o: $\geq 5\%$ (OR= 44,8; 95%CI: 36,4; 55,1; $p<0,001$), $\geq 10\%$ (OR= 48,3; 95%CI: 39,9; 58,5; $p<0,001$),

$\geq 15\%$ (OR= 45,7; 95%CI: 36,0; 58,0; $p<0,001$), $\geq 20\%$ (OR= 32,1; 95%CI: 23,8; 43,1; $p<0,001$)). Spadek masy ciała obserwowano we wszystkich kategoriach BMI, przy czym największy dotyczył osób z otyłością I i II stopnia. Leczenie semaglutydem wiązało się również z istotną poprawą parametrów kardiometabolicznych.

W badaniu Smolderen 2025, w którym semaglutyd porównywano z brakiem leczenia, spośród 27 963 pacjentów, 9 321 otrzymało semaglutyd w dawce 2,4 mg. Jako pierwszorzędowe punkty oceniano zmodyfikowany złożony wskaźnik sercowo-naczyniowy 3-punktowy (rMACE-3: zawał mięśnia sercowego, udar mózgu oraz zgon z jakiegokolwiek przyczyny) oraz zmodyfikowany wskaźnik 5-punktowy (rMACE-5: rMA-CE-3, rewaskularyzacja wieńcowa oraz hospitalizacja z powodu niewydolności serca).

Wśród uczestników stosujących semaglutyd 2,4 mg w porównaniu z osobami, które go nie stosowały, odnotowano odpowiednio 88 vs. 288 zdarzeń rMACE-5 oraz 42 vs. 175 zdarzeń rMACE-3. W porównaniu z brakiem leczenia, stosowanie semaglutylu 2,4 mg wiązało się z istotnie niższym ryzykiem wystąpienia rMACE-5 o 45% (HR=0,55; 95%CI: 0,43; 0,69; $p<0,001$) oraz rMACE-3 o 57% (HR=0,43; 95%CI: 0,31; 0,61; $p<0,001$), w czasie średniej obserwacji wynoszącej 216 dni dla grupy leczonej i 195 dni dla grupy nieleczonej.

Dodatkowo, w porównaniu z osobami niestosującymi leku, stosowanie semaglutylu 2,4 mg było związane z niższym ryzykiem hospitalizacji z powodu niewydolności serca o 54% oraz zgonu z jakiegokolwiek przyczyny o 86% (odpowiednio: HR=0,46; 95%CI: 0,29; 0,73; $p<0,01$; HR=0,14; 95%CI: 0,06; 0,30; $p<0,001$).

Badanie Toliver 2025 obejmowało 8 177 pacjentów, którzy przyjmowali semaglutyd w dawce 2,4 mg, spośród których 7 604 (93,0%) pacjentów miało BMI ≥ 30 kg/m². W podgrupie pacjentów z BMI ≥ 30 kg/m² procentowa utrata masy ciała wynosiła: -13,4% (SD=6,1; n=6 964) po 6 mies., -18,0% (SD=10,1; n=1 915) po 12 mies., -21,2% (SD=11,0; n=454) po 18 mies. i -21,2% (SD=11,2; n=296) po 24 mies. Wszystkie wyniki były istotne statystycznie ($p<0,001$). W odniesieniu do zmian stopnia otyłości, w podgrupie pacjentów z BMI $\geq 30,0$ kg/m² po 18 mies. (n=454) i 24 mies. (n=296) odpowiednio 50,2% i 51,7% uczestników spadło poniżej zakresu otyłości.

Badanie Talay 2026 było retrospektywne, wykorzystano w nim dane z platformy Juniper, oceniano skuteczność (redukcja masy ciała) i bezpieczeństwo (działania niepożądane) semaglutylu. Wyniki w badaniu porównywano w zależności od zastosowanego estymandu oraz od zastosowanego preparatu leczniczego (Wegovy vs Ozempic). Badanie obejmowało 7 279 pacjentów, z czego u 1 678 (23,1%) z nich oceniano skuteczność.

W badaniu w estymandzie efektywności, odzwierciedlającym wyniki przy założeniu odpowiedniej adherencji do leczenia, średnia redukcja masy ciała po 12 miesiącach od rozpoczęcia leczenia wyniosła 15,67% ($\pm 8,0$). Co najmniej 5% masy

wyjściowej utraciło 92,49% pacjentów, $\geq 10\%$ – 75,92%, a $\geq 15\%$ – 53,69%. Łącznie 2,5% pacjentów nie zmniejszyło masy ciała lub ją zwiększyło.

Działania niepożądane zgłosiło 75,98% pacjentów, a średni czas do wystąpienia pierwszego zgłoszonego działania niepożądanego wynosił 43,87 dnia. Przerwę w leczeniu przynajmniej raz odnotowano u 31,92% pacjentów, a średni czas trwania przerwy wynosił 14,17 dnia. Średnia liczba zamówień semaglutynu wynosiła 12,98

W retrospektywnym badaniu Ruseva 2026 (na podstawie danych z elektronicznej dokumentacji medycznej bazy Komodo Research Dataset) oceniano z długoterminowe efekty kardiometaboliczne semaglutynu 2,4 mg, tj. ryzyko rozwoju powikłań sercowo-naczyniowo-metabolicznych, zmianę biomarkerów kardiometabolicznych oraz zmianę 10-letniego ryzyka ASCVD, w porównaniu z pacjentami nieleczonymi semaglutynem 2,4 mg (w tym częścią leczoną innymi lekami stosowanymi w terapii otyłości).

Do badania Ruseva 2026 włączono 8 974 696 pacjentów, z czego 25 783 (0,3%) było leczonych semaglutynem 2,4 mg, a 8 948 913 (99,7%) było nieleczonych.

W badaniu Ruseva 2026 mediana okresu obserwacji wynosiła 15,3–15,4 miesiąca w grupie stosującej semaglutyn 2,4 mg oraz 19,5–20,0 miesiąca w grupie niestosującej semaglutynu. Stosowanie semaglutynu 2,4 mg wiązało się z istotnie niższym ryzykiem wystąpienia większości analizowanych kardiometabolicznych schorzeń współistniejących związanych z otyłością (ORC) w porównaniu z brakiem stosowania semaglutynu:

- wystąpienia stanu przedcukrzycowego lub cukrzycy typu 2 było niższe o 25% (HR=0,75; 95%CI: 0,70; 0,80; $p<0,001$),
- samej cukrzycy typu 2 o 55% (HR=0,45; 95%CI: 0,39; 0,51; $p<0,001$),
- nadciśnienia tętniczego o 38% (HR=0,62; 95%CI: 0,57; 0,68, $p<0,001$),
- miażdżycowej choroby sercowo-naczyniowej (ASCVD) o 35% (HR=0,65; 95%CI: 0,58; 0,72; $p<0,001$),
- niewydolności serca o 52% (HR=0,48; 95%CI: 0,38; 0,61; $p<0,001$),
- choroby sercowo-naczyniowej (CVD) o 31% (HR=0,69; 95%CI: 0,64; 0,75; $p<0,001$).

Nie wykazano istotnej różnicy w ryzyku wystąpienia dyslipidemii (HR=1,05; 95%CI: 1,00; 1,11; $p=0,054$).

Po 24 miesiącach nowe przypadki analizowanych ORC występowały rzadziej wśród pacjentów stosujących semaglutyn 2,4 mg niż w grupie niestosującej leku, z wyjątkiem dyslipidemii, dla której odsetek był taki sam w obu grupach.

W analizie 10-letniego ryzyka ASCVD, przeprowadzonej w podgrupie pacjentów z dostępnymi danymi (N=161 w grupie semaglutynu 2,4 mg), średnie ryzyko w grupie semaglutynu zmniejszyło się z 4,0% do 3,3% po 12 miesiącach, podczas

gdy w grupie niestosującej semaglutynu wzrosło z 4,3% do 4,6%. Różnica między grupami wyniosła -1,0 punktu procentowego (95%CI: -1,3; -0,7; $p<0,001$).

Odsetek pacjentów z pośrednim lub wysokim ryzykiem ASCVD ($\geq 7,5\%$) zmniejszył się w grupie semaglutynu z 14,9% do 9,3%, z kolei w grupie niestosującej semaglutynu wzrósł z 17,7% do 18,7%. Po uwzględnieniu wyjściowego ryzyka ASCVD stosowanie semaglutynu wiązało się z niższymi szansami wystąpienia pośredniego lub wysokiego ryzyka po 12 miesiącach (OR=0,3; 95% CI: 0,1; 0,6; $p<0,001$).

Wyniki dot. bezpieczeństwa semaglutynu przedstawiono dla populacji, obejmującej wszystkich randomizowanych uczestników, którzy otrzymali co najmniej jedną dawkę semaglutynu lub placebo.

STEP 1

W badaniu STEP 1 co najmniej jedno zdarzenie niepożądane (ang. adverse event, AE) wystąpiło u 89,7% pacjentów z grupy semaglutynu oraz u 86,4% z grupy placebo (RR=1,04; $p=0,042$). Częstość występowania ciężkich zdarzeń niepożądanych wyniosła odpowiednio 9,8% w grupie semaglutynu i 6,4% w grupie placebo (RR=1,53; $p=0,013$). Wśród najczęściej występujących zdarzeń niepożądanych wyróżniano: nudności (44,2% vs 17,4%) oraz biegunkę (31,5% vs 15,9%). AE prowadzące do przerwania leczenia istotnie statystycznie częściej występowały w grupie pacjentów, którzy przyjmowali ocenianą interwencję (7,0% vs 3,1%; RR=2,31; $p=0,001$). Zaburzenia żołądkowo-jelitowe stanowiły najczęstszą przyczynę przedwczesnego zakończenia leczenia (4,5% vs 0,8%).

Do najczęściej występujących zdarzeń ($\geq 10\%$ pacjentów) szczególnego zainteresowania należą zaburzenia żołądkowo-jelitowe (74,2% vs 47,9%), zaburzenia psychiczne (9,5% vs 12,7%) oraz zaburzenia układu sercowo-naczyniowego (8,2% vs 11,5%). Przy czym istotne statystycznie (IS) różnice między grupami na korzyść semaglutynu raportowano w zakresie zaburzeń układu sercowo-naczyniowego (RR=0,72; $p=0,019$) i zaburzeń psychicznych (RR=0,75; $p=0,031$). W grupie semaglutynu zarejestrowano 1 zgon, który nie został uznany za związany z ocenianą interwencją.

STEP 5

W trakcie 2-letniego okresu obserwacji w badaniu STEP 5 co najmniej jedno AE odnotowano u 96,1% chorych z grupy ocenianej interwencji oraz u 89,5% pacjentów z grupy placebo, przy czym różnica między grupami była IS (RR=1,07; $p=0,028$). Częstotliwość występowania ciężkich AE była większa w grupie placebo, jednak różnica między grupami nie była istotna statystycznie (7,9% vs 11,8%; RR=0,67; $p=0,253$). Zdarzenia niepożądane prowadzące do przerwania leczenia częściej występowały w grupie pacjentów, którzy przyjmowali semaglutyn (5,9%) niż placebo (4,6%).

Podobno jak w badaniu STEP 1, w badaniu STEP 5 do najczęściej występujących AE należały nudności (53,3% vs 21,7%) oraz biegunka (34,9% vs 23,7%). Do najczęściej występujących AE szczególnego zainteresowania ($\geq 10\%$ pacjentów) należały: zaburzenia żołądkowo-jelitowe (82,2% vs 53,9%), zaburzenia układu krążenia (11,2% vs 21,1%), reakcje alergiczne (15,1% vs 5,3%) oraz zaburzenia psychiczne (17,1% vs 16,4%). Istotnie częściej w grupie semaglutydu występowały zaburzenia żołądkowo-jelitowe ($RR=1,52$; $p<0,001$) i reakcje alergiczne ($RR=2,88$; $p=0,007$), natomiast istotnie rzadziej występowały zaburzenia układu krążenia ($RR=0,53$; $p=0,023$). Zareportowano jedno zdarzenie prowadzące do zgonu w grupie semaglutydu, które nie zostało uznane za związane ze stosowanym leczeniem.

STEP 3

Co najmniej jedno AE w badaniu STEP 3, w którym stosowano intensywną modyfikację stylu życia, wystąpiło u 95,8% pacjentów z grupy semaglutydu oraz u 96,1% z grupy placebo (AE obejmowały ciężkie AE). Różnica między grupami nie była IS ($RR=1,00$; $p=0,879$). Odsetek przerwania leczenia z powodu AE był wyższy w grupie semaglutydu (5,9% vs 2,9%), różnica nie była IS ($RR=2,00$; $p=0,121$). Wśród najczęściej występujących AE wyróżniano zaburzenia żołądkowo-jelitowe (w tym nudności [58,2% vs 22,1%], zaparcie [36,9% vs 24,5%] oraz biegunka [36,1% vs 22,1%]). Wśród najczęstszych zdarzeń szczególnego zainteresowania odnotowano istotną statystycznie różnicę między grupą pacjentów leczonych semaglutydem a placebo, w zakresie wystąpienia: zaburzeń żołądkowo-jelitowych ($RR=1,31$; $p<0,001$), które były częstsze u leczonych semaglutydem. W przypadku zaburzeń układu krążenia nie odnotowano istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami ($RR=0,91$; $p=0,712$). W badaniu nie odnotowano zgonów.

STEP 10

W badaniu STEP 10 w populacji pacjentów ze stanem przedcukrzycowym częstość występowania ciężkich AE była porównywalna w grupach semaglutydu i placebo i wyniosła po 9% w każdej z nich. Ciężkie AE prowadzące do zakończenia leczenia odnotowano u 2,9% chorych w grupie semaglutydu, natomiast nie wystąpiły one w grupie placebo. Z powodu AE leczenie zaprzestano u 6% uczestników w grupie semaglutydu oraz u 1 pacjenta (1,4%) w grupie kontrolnej, przy czym najczęstszą przyczyną zakończenia terapii były zaburzenia żołądkowo-jelitowe (odpowiednio 5% vs 1%). Odnotowano dwa zgony w grupie semaglutydu (oba rozpatrywano jako niezwiązane z lekiem badanym). Najczęściej występującym zdarzeniem szczególnego zainteresowania w badaniu było wystąpienie COVID-19, którego częstość była podobna w obu grupach (35,5% vs 34,8%).

STEP HFpEF

W trakcie badania STEP HFpEF w populacji pacjentów z niewydolnością serca HFpEF ciężkie AE wystąpiły u 13,3% pacjentów w grupie semaglutynu oraz u 26,7% chorych w grupie placebo. Z powodu ciężkich AE leczenie przerwało po 2,3% uczestników w każdej z grup. Z kolei z powodu jakiegokolwiek AE leczenie przerwało istotnie więcej uczestników w grupie semaglutynu niż w grupie placebo (13,3% vs 5,3%; RR=2,53 [95% CI: 1,39; 4,59]), w tym najczęściej z powodu zaburzeń żołądkowo-jelitowych (9,5% vs 2,6%; RR=3,61 [95% CI: 1,59; 8,21]). Ryzyko wystąpienia ciężkich zdarzeń sercowo-naczyniowych było IS niższe w grupie semaglutynu niż w grupie placebo (RR=0,44; 95% CI: 0,26; 0,75). W trakcie badania zmarło 7 uczestników – 3 w grupie semaglutynu i 4 w grupie placebo, w tym jeden zgon w grupie placebo oceniono jako sercowo-naczyniowy.

Wytyczne kliniczne

Wśród dostępnych opcji terapeutycznych semaglutyn oraz tirzepatyd są wskazywane jako najskuteczniejsze leki przeciwootyłościowe. Do pozostałych opcji farmakoterapii zaliczano liraglutyn, naltrekson z bupropionem, orlistat oraz fenterminę z topiramatem.

Wytyczne rekomendują semaglutyn jako jedną z opcji pierwszego wyboru (obok tirzepatynu) w leczeniu otyłości u pacjentów ze współistniejącym stanem przedcukrzycowym (PDM), cukrzycą typu 2, chorobą sercowo-naczyniową (ChSN), niewydolnością serca oraz MASLD. Należy jednocześnie podkreślić, że część wytycznych (PTLO 2026 oraz ESC 2025) wskazuje semaglutyn jako preferowaną opcję terapeutyczną u pacjentów z otyłością i współistniejącą rozpoznaną chorobą sercowo-naczyniową. Ponadto oceniana interwencja jest terapią pierwszego wyboru u chorych z chorobą zwyrodnieniową stawu kolanowego (ang. knee osteoarthritis, KOA) oraz u pacjentów z włóknieniem wątroby. Również w populacji pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN) preferowanym lekiem jest semaglutyn. Zgodnie z rekomendacjami farmakoterapia semaglutynem powinna być prowadzona długoterminowo, o ile pozostaje potrzebna, skuteczna i dobrze tolerowana. Jednocześnie podkreślono, iż krótkotrwałe leczenie (3–6 mies., KLRWP i PTLO 2025.) nie zapewnia długotrwałych korzyści zdrowotnych i nie jest rekomendowane.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie leku Wegovy w połączeniu z BSC w miejsce samej BSC w przypadku obydwu populacji uwzględnionych w analizie podstawowej jest [redacted]. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ dla porównania Wegovy+BSC vs BSC w przypadku populacji A wyniósł 168 891 PLN/QALY, a w przypadku populacji B – 197 854 PLN/QALY. Obydwie te wartości znajdują się poniżej progu opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji. Wyniki analizy z perspektywy wspólnej są spójne z wynikami z perspektywy NFZ (w przypadku obydwu uwzględnionych populacji

ICUR z perspektywy wspólnej jest niższy od ICUR z perspektywy NFZ o mniej niż 1%).

Prognozowany wzrost wydatków całkowitych płatnika publicznego związany z finansowaniem Wegovy w populacji A programu lekowego wyniesie w kolejnych 4 latach analizy: 12,37 mln zł, 20,84 mln zł, 28,64 mln zł i 36,14 mln zł.

Prognozowany wzrost wydatków całkowitych płatnika publicznego związany z finansowaniem Wegovy w populacji B programu lekowego wyniesie w kolejnych 4 latach analizy: 96,04 mln zł, 161,78 mln zł, 222,53 mln zł oraz 280,67 mln zł.

Sumaryczny wzrost wydatków całkowitych płatnika publicznego obejmujący obie części programu wyniesie w kolejnych czterech latach analizy: 108,40 mln zł, 182,62 mln zł, 251,17 mln zł oraz 316,82 mln zł.

Z perspektywy wspólnej dodatkowe wydatki są niższe niż z perspektywy płatnika publicznego, co wynika z uwzględnienia w tej perspektywie wydatków ponoszonych przez pacjentów, w tym kosztów leków nierefundowanych stosowanych w leczeniu chorób współistniejących związanych z otyłością.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono łącznie sześć rekomendacji refundacyjnych: w tym: cztery pozytywne, jedną warunkowo pozytywną oraz jedną negatywną. W rekomendacjach pozytywnych podkreślano skuteczność semaglutynu w badaniach klinicznych oraz jego stosowanie jako uzupełnienia diety o obniżonej kaloryczności i zwiększonej aktywności fizycznej. PBAC 2025 wskazuje również na potrzebę poprawy efektywności kosztowej terapii oraz wdrożenia mechanizmów ograniczających ryzyko finansowe dla systemu publicznego. W rekomendacji warunkowo pozytywnej (CDA-AMC 2025) zalecono refundację semaglutynu w ocenianym wskazaniu pod warunkiem spełnienia określonych kryteriów, w tym stosowania terapii łącznie z dietą o obniżonej kaloryczności i zwiększoną aktywnością fizyczną oraz obniżenia ceny produktu. W rekomendacji negatywnej (G-BA 2024) wskazano, że semaglutyn, jako lek stosowany w regulacji masy ciała podlega ustawowemu wyłączeniu z refundacji. Podkreślono również brak podstaw prawnych do wprowadzenia wyjątków od tego wyłączenia oraz fakt, że wyniki badań klinicznych nie wpływają na klasyfikację produktu. Dodatkowo w dokumentach HAS 2025 oraz PBAC 2025 ograniczono populację docelową do pacjentów z początkowym BMI wynoszącym $\geq 35 \text{ kg/m}^2$.

Główne argumenty decyzji:

- Wyniki badań naukowych oparte przede wszystkim o zastępcze punkty końcowe;

- *Brak badań porównawczych z innymi komparatorami (farmakologicznymi);*
- *Bardzo duże obciążenie dla płatnika publicznego.*

Uwaga Rady

Proponowana farmakoterapia nie stanowi kompleksowego rozwiązania profilaktyki powikłań odległych choroby otyłościowej.

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.4131.10.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Wegovy (semaglutyd) we wskazaniu: w ramach programu lekowego »Leczenie choroby otyłościowej (ICD-10: E.66)«”; data ukończenia: 18 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Novo Nordisk 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: (Novo Nordisk Pharma Sp. z o.o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 139/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Akeega (niraparyb + abirateron) w ramach
programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu
krokowego (ICD-10: C61)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Akeega (niraparyb + abirateron), tabletki powlekane, 50 mg + 500 mg, 56 tabl., GTIN: 05413868122442;*
- *Akeega (niraparyb + abirateron), tabletki powlekane, 100 mg + 500 mg, 56 tabl., GTIN: 05413868122459,*

w ramach programu lekowego B.56. „Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Akeega we wskazaniu: w skojarzeniu z prednizonem lub prednizolonem i terapią deprywacji androgenowej (ang. androgen deprivation therapy, ADT) w leczeniu dorosłych chorych na hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego z przerzutami (ang. metastatic hormone-sensitive prostate cancer mHSPC/ ang. metastatic castration-sensitive prostate cancer, mCSPC) i mutacjami genów BRCA 1/2 (germinalną i (lub) somatyczną).

Rak gruczołu krokowego (rak stercza, rak prostaty, RGK) jest nowotworem złośliwym wywodzącym się pierwotnie z obwodowej strefy gruczołu krokowego. W początkowym stadium choroby, które może trwać wiele lat, nowotwór jest ograniczony do narządu i niemy klinicznie. W fazie choroby inwazyjnej nacieka sąsiadujące tkanki i narządy, szerząc się wzdłuż przestrzeni okołonerkowych. Przerzuty powstają drogą naczyń chłonnych i krwionośnych. Dochodzi do zajmowania regionalnych węzłów chłonnych, a przerzuty odległe zazwyczaj występują w kościach, rzadziej w wątrobie, płucach i mózgu. Przeżycie zależy od zaawansowania choroby i zastosowanej formy leczenia. Po leczeniu radykalnym 5 lat przeżywa 70–85% chorych, a odsetek przeżyć 10-letnich wynosi 50–75%. U chorych niekwalifikujących się do leczenia radykalnego progresję

choroby stwierdza się w różnym okresie od włączenia terapii hormonalnej, ale zwykle po 18–36 mies. Chorzy z nowotworem zaawansowanym miejscowo leczeni zachowawczo przeżywają średnio 4,5 roku, a chorzy z rozsiewem – 3–5 lat lub dłużej.

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

Technologie alternatywne wskazywane przez wnioskodawcę obejmują: ADT + apalutamid/ enzalutamid/ darolutamid/ octan abirateronu + prednizon lub prednizolon oraz ADT + darolutamid + docetaksel.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono 1 pierwotne badanie z randomizacją, oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania niraparybu (NIR) + octanem abirateronu z prednizonem/ prednizolonem (AAP) + terapią deprywacji androgenowej (ADT) w porównaniu placebo z octanem abirateronu + prednizonem/ prednizolonem (AAP) + terapią deprywacji androgenowej (ADT), w leczeniu pacjentów z przerzutowym wrażliwym na kastrację rakiem gruczołu krokowego (mHSPC), z mutacjami w genach HRR (badanie AMPLITUDE).

Wyniki badania AMPLITUDE pochodzą z publikacji Attard 2025 i/lub z [REDAKTOWANE] i dotyczą mediany czasu obserwacji wynoszącej 30,8 mies. dla pierwszej analizy interim (IA1) (DCO: 07.01.2025 r.) [REDAKTOWANE]

W badaniu AMPLITUDE zarówno w populacji ogólnej, jak i w podgrupach wyodrębnionych na podstawie statusu mutacji BRCA1/2 oraz efektora HRR+, wykazano istotne statystyczne wydłużenie PFS u pacjentów leczonych NIR+AAP+ADT w porównaniu z pacjentami leczonymi PLC+AAP+ADT. W podgrupie pacjentów z BRCA 1/2 ryzyko wystąpienia radiograficznej progresji choroby ocenianej przez badacza było o 48% niższe w grupie pacjentów leczonych NIR+AAP+ADT niż w grupie PLC+AAP+ADT (HR = 0,52; 95% CI: 0,37; 0,72). W podgrupie pacjentów z mutacją BRCA1/2 mediana rPFS w ramieniu NIR+AAP+ADT nie została osiągnięta, natomiast w grupie PLC+AAP+ADT wynosiła 26,0 mies.

[REDACTED]

W badaniu AMPLITUDE końcową analizę przeżycia (OS) zaplanowano po wystąpieniu 389 zgonów w populacji ITT (tj. po 79 mies. trwania badania). Zgodnie z protokołem badania pierwszą analizę interim dla OS przeprowadzono równolegle z analizą rPFS (DCO: 07.01.2025 r.). [REDACTED]

[REDACTED]

W trakcie pierwszej analizy interim (IA1) dane dotyczące OS były niedojrzałe (w populacji ITT raportowano 193 z 389 zgonów wymaganych do przeprowadzenia ostatecznej analizy OS). Zarówno w populacji ITT, populacji pacjentów z mutacją BRCA 1/2 oraz populacji z efektorami HRR+ mediana OS nie została osiągnięta. Ponadto oszacowane wartości HR nie wykazały istotnych statystycznie różnic pomiędzy porównywanymi grupami.

[REDACTED]

[REDACTED]

W trakcie pierwszej analizy interim (IA1) dane dotyczące czasu do progresji objawów (TSP) były niedojrzałe. Zarówno w populacji ITT, populacji pacjentów z mutacją BRCA 1/2 oraz populacji z efektorami HRR+ mediana TSP nie została osiągnięta. Oszacowane wartości HR wskazywały na istotne statystycznie zmniejszenie ryzyka progresji objawów na korzyść NIR+AAP+ADT względem PLC+AAP+ADT, we wszystkich analizowanych populacjach.

[REDACTED]

W trakcie pierwszej analizy interim (IA1) nie wykazano istotnych statystycznie różnic w zakresie prawdopodobieństwa uzyskania odpowiedzi na leczenie

pomiędzy grupami NIR+AAP+ADT i PLC+AAP+ADT, zarówno w populacji ITT, jak i w populacji pacjentów z mutacją BRCA1/2 oraz w populacji z efektorami HRR+.

Z uwagi na brak zidentyfikowanych badań klinicznych porównujących NIR+AAP+ADT względem pozostałych komparatorów w ocenianym wskazaniu, wnioskodawca przeprowadził

Wytyczne kliniczne

Zgodnie z informacjami zawartymi w wytycznych klinicznych, w leczeniu przerzutowego, hormonowrażliwego raka gruczołu krokowego, najbardziej rekomendowanymi schematami leczenia jest terapia deprywacji androgenowej (ADT) w skojarzeniu z abirateronem, enzalutamidem, apalutamidem czy darolutamidem (Siła rekomendacji: ESMO – I, A; AUA – silna; NCCN – kategoria 1). Ponadto w przypadku pacjentów z masywnym rozsiewem choroby (ang. high volume disease) jako zalecaną terapię wymieniano głównie schemat obejmujący ADT w skojarzeniu z docetakselem i darolutamidem / abirateronem (Siła rekomendacji: PTOK/PTU – I, A; ESMO – II, A; AUA – silna; NCCN – kategoria 1; ASCO: silna).

Oceniana interwencja (ADT + niraparyb + abirateron) została uwzględniona w 3 dokumentach (NCCN 2026, EAU 2026, AUA 2026), jako opcja terapeutyczna wśród pacjentów z mHSPC oraz mutacją BRCA2 (Siła rekomendacji: EAU – słaba; NCCN – kategoria 2B, przydatne w określonych okolicznościach; AUA – opinia ekspertów).

Problem ekonomiczny

Oszacowany ICUR dla porównania wnioskowanej terapii z terapią AAP wyniósł ok. 903 tys. zł/QALY bez uwzględnienia RSS oraz ok. [] z RSS, dla porównania z terapią APA – ok. 654 tys. zł/QALY bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, dla porównania z terapią ENZ – ok. 526 tys. zł/QALY bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, dla porównania z terapią DAR+DOC – ok. 3 mln zł/QALY bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, natomiast dla porównania z terapią DAR – ok. 507 tys. zł/QALY bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS. Wszystkie wartości ICUR bez RSS przekraczają próg opłacalności, o którym mowa w ustawie o refundacji (244 821 zł/QALY), wartości uwzględniające RSS znajdują się []

Przy oszacowanych wartościach ICUR ceny zbytu netto leku Akeega, przy których koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość są równe wysokości progu opłacalności (244 821 zł/QALY) wynoszą odpowiednio: dla porównania z terapią AAP [] bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, dla porównania z terapią APA – [] bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, dla porównania z terapią ENZ – [] bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, dla porównania z terapią DAR+DOC – [] bez uwzględnienia RSS oraz [] z RSS, natomiast dla porównania z terapią DAR – [] bez RSS oraz [] z RSS.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie 2-letnim (lata 2027–2028). Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy, populacja objęta leczeniem w scenariuszu nowym wyniesie [] pacjentów w pierwszym oraz [] pacjentów w drugim roku refundacji.

Koszty całkowite w scenariuszu nowym wyniosą w pierwszym roku ok. [] i ok. [] w wariantach bez i z uwzględnieniem RSS. W drugim roku koszty całkowite w scenariuszu nowym oszacowano na ok. [] i ok. [] odpowiednio w wariantach bez i z RSS. Oszacowane koszty inkrementalne to ok. 6,5 mln zł i 25,0 mln zł w I. i II. roku przyjmując koszt produktu leczniczego Akeega bez uwzględnienia proponowanego RSS. Po uwzględnieniu RSS koszty inkrementalne w I. roku wyniosą ok. [] i ok. [] w II. roku refundacji.

Rekomendacje refundacyjne

W 4 zagranicznych agencjach (NICE – Wielka Brytania, NCPE – Irlandia, CDA-AMC – Kanada oraz ZN – Holandia) ocena trwa, odnaleziono 1 decyzję o odmowie wczesnego dostępu we Francji (HAS) oraz 2 oceny stwierdzające brak udowodnienia dodatkowej korzyści (IQWiG i G-BA).

Decyzję o odmowie wczesnego dostępu wydaną przez HAS uzasadniono tym, że w rozpatrywanym wskazaniu istnieją odpowiednie metody leczenia oraz że dostępne dane nie pozwalają na ocenę dodatkowej korzyści wynikającej ze stosowania produktu leczniczego Akeega, ani na jednoznaczne określenie jej miejsca w strategii terapeutycznej w porównaniu z innymi dostępnymi terapiami hormonalnymi (enzalutamid, darolutamid, apalutamid).

W ocenie G-BA oraz IQWiG dodatkowa korzyść niraparybu/octanu abirateronu w skojarzeniu z prednizonem lub prednizolonem i ADT względem właściwej terapii porównawczej nie została udowodniona, przy jednoczesnym niekorzystnym profilu bezpieczeństwa.

Warunki refundacji w innych krajach

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Akeega jest finansowany w 19 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych). Najczęściej Akeega podlega refundacji

Główne argumenty decyzji:

- Niedojrzałe dane z badania klinicznego odnośnie przeżycia całkowitego.
- Brak randomizowanych badań porównujących technologię z refundowanymi komparatorami.
- Brak pozytywnych rekomendacji refundacyjnych innych agencji.
- Brak efektywności kosztowej.

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.4131.6.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Akeega (niraparyb + abirateron) we wskazaniu: w ramach programu lekowego: B.56. »Leczenie chorych na raka gruczołu krokowego (ICD-10: C61)«”; data ukończenia: 16 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

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

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Janssen - Cilag 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: (Janssen - Cilag Polska Sp. z o. o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 140/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie oceny leku Polpril Nebi (ramipryl + nebiwolol)
we wskazaniu dot. leczenia nadciśnienia tętniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Polpril Nebi (ramiprilum + nebivololi hydrochloridum), kapsułki twarde, 2,5 mg + 5 mg, 30 kaps., GTIN: 05909991593933;*
- *Polpril Nebi (ramiprilum + nebivololi hydrochloridum), kapsułki twarde, 5 mg + 5 mg, 30 kaps., GTIN: 05909991593964;*
- *Polpril Nebi (ramiprilum + nebivololi hydrochloridum), kapsułki twarde, 10 mg + 5 mg, 30 kaps., GTIN: 05909991593995,*

we wskazaniach:

- *w leczeniu nadciśnienia tętniczego samoistnego jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, u których ciśnienie tętnicze jest odpowiednio kontrolowane za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;*
- *w leczeniu przewlekłej niewydolności serca jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;*
- *w leczeniu choroby wieńcowej jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;*
- *w leczeniu nadciśnienia tętniczego samoistnego z towarzyszącą przewlekłą niewydolnością serca jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych;*
- *leczenie nadciśnienia tętniczego samoistnego z towarzyszącą chorobą wieńcową jako terapia substytucyjna u dorosłych pacjentów, którzy osiągnęli odpowiednie leczenie za pomocą nebiwololu i ramiprylu w takich samych*

dawkach jak w produkcie złożonym, ale w oddzielnych produktach leczniczych,
jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowe wnioski dotyczą objęcia refundacją produktów leczniczych Polpril Nebi we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, tj. dorośli z: nadciśnieniem tętniczym samoistnym; przewlekłą niewydolnością serca; chorobą wieńcową; nadciśnieniem tętniczym samoistnym z towarzyszącą przewlekłą niewydolnością serca; nadciśnieniem tętniczym samoistnym z towarzyszącą chorobą wieńcową, u których uzyskano odpowiednią kontrolę choroby podczas jednoczesnego stosowania nebiwololu i ramiprylu w oddzielnych produktach leczniczych, w dawkach odpowiadających produktowi złożonemu.

Jako komparator Wnioskodawca wskazał właściwie: ramipryl i nebiwolol w oddzielnych preparatach w dawkach takich jak w produkcie leczniczym Polpril Nebi.

Mechanizm działania związany z ramiprylem odnosi się do ramiprylatu, który jest czynnym metabolitem proleku – ramiprylu, hamuje on enzym dipeptydylokarboksypeptydazę I (synonimy: konwertaza angiotensyny; kininaza II). W osoczu i tkankach enzym ten katalizuje konwersję angiotensyny I do czynnej substancji zwężającej naczynia krwionośne – angiotensyny II, jak również katalizuje rozpad bradykininy – czynnego związku rozszerzającego naczynia krwionośne. Zmniejszenie wytwarzania angiotensyny II i hamowanie rozpadu bradykininy prowadzą do rozszerzenia naczyń krwionośnych. Ponieważ angiotensyna II pobudza także uwalnianie aldosteronu, ramiprylat powoduje zmniejszenie wydzielania aldosteronu.

Z kolei nebiwolol jest mieszaniną racemiczną dwóch enancjomerów: nebiwololu SRRR (lub d-nebiwololu) i nebiwololu RSSS (lub l-nebiwololu). Wykazuje dwa działania farmakologiczne, tj. jest konkurencyjnym i wybiórczym antagonistą receptorów beta-adrenergicznych: działanie to przypisywane jest enancjomerowi SRRR (d-enancjomerowi), jak również wykazuje łagodne działanie rozszerzające naczynia, które wynika z oddziaływania na szlak przemian metabolicznych L-argininy/tlenku azotu.

Data wydania pierwszego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu produktu leczniczego to 12 luty 2026 r., co wskazuje na nowość wnioskowanego rozwiązania. Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Polpril Nebi nie jest finansowany w żadnym z krajów UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego, nie odnaleziono badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo spełniających kryteria włączenia odpowiadających zarejestrowanemu wskazaniu. Podstawę oceny stanowiły badania biorównoważności przeprowadzone u zdrowych ochotników.

W ramach oceny biorównoważności produktu złożonego zawierającego nebiwolol i ramipryl zidentyfikowano dwa dokumenty opisujące badania farmakokinetyczne, w których porównywano produkt złożony zawierający nebiwolol i ramipryl w dawce odpowiednio 5 i 10 mg z jednoczesnym podaniem odpowiednich produktów jednoskładnikowych. Celem obu badań była ocena czy ekspozycja ogólnoustrojowa na nebiwolol i ramipryl po zastosowaniu produktu złożonego jest porównywalna z ekspozycją uzyskaną po jednoczesnym podaniu tych substancji czynnych w oddzielnych produktach leczniczych.

W badaniu CRO-PK-23-364/NEB-RAM-01 wykazano biorównoważność produktu złożonego względem jednoczesnego podania odpowiednich produktów jednoskładnikowych. Ocena opierała się na standardowych parametrach farmakokinetycznych, przede wszystkim AUC i C_{max}, a w przypadku ramiprylu dodatkowo uwzględniono jego aktywny metabolit – ramiprylat. We wszystkich analizach 90% przedziały ufności dla stosunku produktu badanego do referencyjnego mieściły się w standardowym zakresie akceptacji biorównoważności od 80 do 125%.

Profil bezpieczeństwa był akceptowalny. Raportowane zdarzenia niepożądane miały łagodne lub umiarkowane nasilenie, nie obserwowano sygnałów bezpieczeństwa podważających możliwość stosowania produktu złożonego.

Wytyczne kliniczne

W ramach wyszukiwania z dnia 18.08.2026 r. odnaleziono 5 dokumentów wytycznych klinicznych na temat leczenia nadciśnienia tętniczego, w których zalecano stosowanie produktów złożonych: polskie PTNT/PTK 2024, europejskie ESH 2023 oraz ESC 2024, amerykańskie AHA/ACC/AANP/AAPA/ABC/ACCP/ACPM/AGS/AMA/ASPC/NMA/PCNA/SGIM 2025 oraz PTK 2022 na podstawie ESC 2021 wraz z ich uaktualnieniami. Przedstawiono głównie informacje dotyczące stosowania leku złożonego w postaci jednej tabletki (ang. single-pill combination, SPC) we wskazaniu zgodnym z wnioskiem. Informacje dotyczące stosowania preparatów w postaci SPC odnaleziono jedynie w wytycznych dotyczących nadciśnienia tętniczego, natomiast brak informacji dotyczących leczenia niewydolności serca i choroby wieńcowej w kontekście analizowanego produktu leczniczego. Jednak w wytycznych dotyczących leczenia niewydolności serca oraz choroby wieńcowej zaleca się używanie obu tych substancji czynnych albo jednocześnie, albo osobno w połączeniach z innymi lekami, jednakże nie odniesiono się do stosowania SPC. Należy jednak zauważyć,

że w przeważającej większości odnalezionych wytycznych klinicznych znajduje się zalecenie stosowania terapii w postaci preparatów złożonych.

Problem ekonomiczny

W ramach analizy wpływu na budżet płatnika publicznego z zastosowaniem analizy podstawowej przyjęto, że wprowadzenie wnioskowanej technologii będzie obejmowało:

- [] pacjentów w 1. roku ([]);
- [] pacjentów w 2. roku ([]).

Otrzymane wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że finansowanie produktu leczniczego Polpril Nebi (ramipryl + nebiwolol) ze środków publicznych w ramach grupy limitowej 44.0 „Inhibitory konwertazy angiotensyny – produkty jednoskładnikowe i złożone”, przy założeniu refundacji w ramach wykazu A1 bez uwzględnienia na wykazie D2, będzie generować oszczędności z perspektywy płatnika publicznego: 1,73 mln PLN w 1. roku i 3,52 mln PLN w 2. roku oraz z perspektywy wspólnej o 0,87 mln PLN i 1,77 mln PLN odpowiednio w 1. i 2. roku.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla leku złożonego Polpril Nebi.

Główne argumenty decyzji:

- Uproszczenie schematu leczenia w szczególności dla pacjentów z wielochorobowością;
- Postępowanie zgodne z wytycznymi klinicznymi;
- Rozwiązanie może generować oszczędności.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4130.11.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Polpril Nebi (ramipryl+nebiwolol) we wskazaniu: leczenie nadciśnienia tętniczego samoistnego, przewlekłej niewydolności serca, choroby wieńcowej, nadciśnienia tętniczego samoistnego z towarzyszącą przewlekłą niewydolnością serca, nadciśnienia tętniczego samoistnego z towarzyszącą chorobą wieńcową, u dorosłych pacjentów, u których uzyskano odpowiednią kontrolę choroby podczas jednoczesnego stosowania nebiwololu i ramiprylu w oddzielnych produktach leczniczych, w dawkach odpowiadających produktowi złożonemu”; data ukończenia: 16 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem żółtym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A. 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 2026 r., poz. 253 z późn. zm.).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Zakłady Farmaceutyczne POLPHARMA S.A.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 141/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Porada pielęgniarska – leczenie ran trudno
gojących się i przewlekłych”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Porada pielęgniarska – leczenie ran trudno gojących się i przewlekłych” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia „Porada pielęgniarska – leczenie ran trudno gojących się i przewlekłych”, jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej wraz z opracowaniem wyceny dla świadczenia. Wnioskowane świadczenie obejmuje ocenę stanu pacjenta i rany, postępowanie z raną, monitorowanie procesu gojenia oraz działania edukacyjne dotyczące dalszego postępowania i zapobiegania nawrotom. Świadczenie ma stanowić samodzielną poradę pielęgniarską przeznaczoną dla pacjentów z ranami trudno gojącymi się i przewlekłymi, występującymi m.in. w przebiegu cukrzycowej choroby stóp, owrzodzeń żylnych i tętniczych goleni oraz odleżyn. Świadczenie miałyby być realizowane samodzielnie przez magistra pielęgniarstwa ze specjalizacją w dziedzinie pielęgniarstwa chirurgicznego.

Dowody naukowe

Analizie poddano 13 dokumentów opublikowanych w latach 2010-2026, w tym 3 dokumenty dotyczyły ran trudno gojących się i przewlekłych związanych z chorobą tętnic obwodowych, cukrzycą oraz przewlekłą niewydolnością żylną (DNQP 2026, PTLR 2026, DGfW 2023), 4 dokumenty dotyczące zespołu stopy cukrzycowej (PTD 2026, RNAO 2024, IWGDF 2023, NICE 2019), 3 dokumenty dotyczące odleżyn (PTLR 2020, NPIAP/EPUAP/PPPIA 2019, WCC 2020) oraz 3 dokumenty dotyczące owrzodzeń goleni, w szczególności owrzodzeń żylnych (EWMA 2016, WI 2015, SIGN 2010). W analizowanych dokumentach dotyczących organizacji opieki nad pacjentami z ranami trudno gojącymi się i przewlekłymi wskazywano przede wszystkim na potrzebę współpracy interdyscyplinarnej,

odpowiednich kwalifikacji i kompetencji personelu, określenia zakresu odpowiedzialności członków zespołu oraz zapewnienia ciągłości i koordynacji opieki pomiędzy poszczególnymi poziomami jej realizacji. W części dokumentów wskazano również na udział pielęgniarek w ocenie i leczeniu ran, monitorowaniu procesu leczenia oraz edukacji pacjenta.

W ramach przeglądu rozwiązań międzynarodowych przeanalizowano sposób organizacji i finansowania świadczeń związanych z leczeniem ran trudno gojących się i przewlekłych, w tym zakres udziału pielęgniarek w ich realizacji. Do raportu włączono siedem dokumentów dotyczących pięciu krajów: Belgii, Francji, Niemiec, Hiszpanii i Portugalii. Analizę przeprowadzono na podstawie oficjalnych aktów prawnych i dokumentów systemowych wydanych przez instytucje publiczne odpowiedzialne za organizację i finansowanie świadczeń zdrowotnych. W żadnym z analizowanych krajów nie zidentyfikowano świadczenia odpowiadającego ocenianej poradzcie pielęgniarskiej pod względem zakresu, sposobu organizacji i poziomu udzielania świadczenia. We Francji i Niemczech rozpoczęcie opieki pielęgniarskiej jest związane z wcześniejszą oceną lekarską lub zleceniem lekarskim. W Belgii pacjent w pierwszej kolejności zgłasza się do lekarza, a następnie rana jest oceniana przez pielęgniarkę. We wszystkich analizowanych krajach w realizacji świadczeń związanych z leczeniem ran uczestniczą pielęgniarki. Zakres kompetencji pielęgniarek obejmuje przede wszystkim ocenę i monitorowanie rany, wykonywanie opatrunków, leczenie miejscowe oraz edukację pacjenta, natomiast w przypadkach wymagających diagnostyki lekarskiej, leczenia zabiegowego lub oceny braku poprawy albo pogorszenia stanu rany przewidziano udział lekarza lub zespołu specjalistycznego. W części krajów wyodrębniono taryfy dla wybranych czynności pielęgniarskich związanych z leczeniem ran, jednak nie zidentyfikowano modelu finansowania odpowiadającego zakresowi ocenianego świadczenia.

Problem ekonomiczny

Populację docelową przedstawiono w dwóch wariantach. Wariant minimalny obejmuje pacjentów korzystających ze świadczeń AOS w zakresie chirurgii ogólnej, natomiast wariant maksymalny obejmuje szerszą grupę pacjentów korzystających ze świadczeń związanych z leczeniem ran trudno gojących się i przewlekłych realizowanych w różnych zakresach świadczeń finansowanych przez NFZ. Ze względu na brak danych niezbędnych do przeprowadzenia kalkulacji kosztu projektowanego świadczenia do oszacowania przyjęto wartość 85,56 zł, odpowiadającą aktualnej wartości produktu PZ106 „Świadczenia zabiegowe pielęgniarki lub położnej – grupa 106”. Wariant minimalny to ok. 91 tys. pacjentów w I roku po wprowadzeniu świadczenia i ok. 92 tys. pacjentów w II roku po wprowadzeniu świadczenia. Wariant maksymalny to około 239 tys. pacjentów w I roku po wprowadzeniu świadczenia oraz ok. 245 tys. pacjentów w II roku po wprowadzeniu świadczenia. Na potrzeby analizy

przyjęto 6 porad przypadających na jednego pacjenta w ciągu roku. Każdej poradzie przypisano wartość 85,56 zł. Szacunkowe skutki finansowe realizacji świadczenia „Porada pielęgniarstwa – leczenie ran trudno gojących się i przewlekłych”, wyniosłyby w wariantcie minimalnym ok. 46,7 mln zł w I roku i ok. 47,3 mln zł w II roku. Natomiast w wariantcie maksymalnym ok. 122,5 mln zł w I roku i ok. 125,6 mln zł w II roku. Natomiast należy podkreślić, że przedstawione wartości nie stanowią oszacowania kosztów inkrementalnych związanych z wprowadzeniem wnioskowanego świadczenia.

Główne argumenty decyzji:

- zakres czynności w proponowanej poradzie nie znajduje pełnego odzwierciedlenia w obecnie funkcjonujących regulacjach prawnych dotyczących kompetencji pielęgniarek, w szczególności w zakresie zlecania badań diagnostycznych i wykonywania diagnostyki ultrasonograficznej oraz wykonywania znieczulenia nasiękowego i ordynowania leków związanych z leczeniem ran;
- oceniane świadczenie byłoby powieleniem procedur aktualnie finansowanych w różnych rodzajach świadczeń, tj. w podstawowej opiece zdrowotnej (POZ) w ramach Kompleksowej Opieki Pielęgniarskiej (KOP), w ambulatoryjnej opiece specjalistycznej (AOS) w ramach grupy PZ106 oraz w świadczeniach zdrowotnych kontraktowanych odrębnie w zakresach Kompleksowego leczenia ran przewlekłych (KLRP-1 i KLRP-2);
- brak możliwości określenia wpływu realizacji świadczenia na wykorzystanie innych świadczeń finansowanych przez płatnika publicznego, w tym świadczeń związanych z leczeniem ran trudno gojących się i przewlekłych;
- w innych krajach nie zidentyfikowano rozwiązania odpowiadającego ocenianej poradzie pielęgniarstwa pod względem zakresu świadczenia, sposobu organizacji oraz modelu finansowania.

Uwaga Rady

Rada uważa problem leczenia ran przewlekłych za ważny i nie w pełni rozwiązany w aktualnym systemie opieki zdrowotnej. Warto rozważyć całościowo kwestię koordynacji i opieki.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DWSGiZS.4100.9.2026 „Porada pielęgniarstwa – leczenie ran trudno gojących się i przewlekłych Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki”; data ukończenia: 22.09.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 142/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Leczenie gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych”
jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych” jako świadczenia gwarantowanego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia leczenia gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych jako świadczenia gwarantowanego – w oparciu o doświadczenia z programu pilotażowego. Przedmiotem oceny jest model leczenia dorosłych pacjentów z MDR-TB w warunkach ambulatoryjnych. Jednocześnie proponowany model pozwala na ponadnarodową harmonizację leczenia MDR-TB i postępowanie zgodne ze standardami Światowej Organizacji Zdrowia. Podstawą dla analizy jest program pilotażowy leczenia gruźlicy wielolekoopornej (MDR-TB) w warunkach ambulatoryjnych. Proponowane świadczenie stanowi w szczególności zmianę w zakresie organizacji udzielania świadczeń ukierunkowaną na zapewnienie ciągłości leczenia w trybie ambulatoryjnym, ograniczenie hospitalizacji oraz wzmocnienie nadzoru nad realizacją terapii dla świadczeniobiorców leczonych z powodu MDR-TB.

*Rozpoznanie gruźlicy opiera się na ocenie klinicznej oraz wynikach badań mikrobiologicznych, molekularnych i obrazowych. Złotym standardem pozostaje hodowla prątków, natomiast WHO rekomenduje również stosowanie szybkich testów molekularnych (Xpert MTB/RIF lub Xpert Ultra) jako badań pierwszego wyboru, umożliwiających jednocześnie wykrycie *M. tuberculosis* i oporności na ryfampicynę. W diagnostyce MDR-TB wykorzystuje się ponadto testy liniowe (LPA), fenotypowe testy lekowrażliwości oraz sekwencjonowanie nowej generacji (NGS), pozwalające na identyfikację mutacji związanych z opornością na leki przeciwpłatkowe.*

Gruźlica pozostaje jednym z najważniejszych problemów zdrowia publicznego na świecie. W Polsce w 2024 r. zarejestrowano 4 236 przypadków gruźlicy (zapadalność 11,3/100 tys. mieszkańców), z czego 96,6% stanowiła gruźlica płuc. MDR-TB rozpoznano u 106 chorych, a przypadki te stanowiły około 3% wszystkich zachorowań potwierdzonych bakteriologicznie. Znaczny udział wśród chorych na MDR-TB stanowili cudzoziemcy (74 osoby).

Leczenie MDR-TB jest bardziej złożone niż gruźlicy lekowrażliwej i wymaga stosowania leków drugiego rzutu. W ostatnich latach nastąpiła poprawa wyników terapii dzięki wdrożeniu krótszych, całkowicie doustnych schematów opartych m.in. na bedakilinie, pretomanidzie i linezolidzie. WHO rekomenduje obecnie 6- i 9-miesięczne schematy leczenia dla pacjentów spełniających określone kryteria kliniczne. Istotnym elementem postępowania pozostaje monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa terapii oraz wsparcie adherencji, w tym poprzez leczenie bezpośrednio nadzorowane (DOT) i rozwiązania telemedyczne np. leczenie nadzorowane za pomocą wideo (VOT). VOT stanowi alternatywę dla konwencjonalnego nadzoru DOT, polega na zdalnej interakcji między pacjentem, a pracownikiem ochrony zdrowia. Kontakt nawiązywany jest za pośrednictwem nagrań wideo (VOT asynchroniczne) lub wideotransmisji w czasie rzeczywistym (VOT synchroniczne) przy użyciu smartfonów, tabletów lub komputerów z dostępem do internetu.

Dowody naukowe

Zidentyfikowano 10 dokumentów, z lat 2019–2026, opracowanych przez 7 organizacji krajowych i międzynarodowych dotyczących diagnostyki, leczenia oraz organizacji opieki nad dorosłymi pacjentami z MDR/RR-TB. Rekomendacje wskazują na odchodzenie od długotrwałych schematów terapeutycznych na rzecz krótszych, całkowicie doustnych schematów leczenia. Wytyczne międzynarodowe (WHO, ATS/CDC/ERS/IDSA), a także polskie PTChP oraz hiszpańskie SEPAR/SEIMC wskazują, że preferowaną opcją u pacjentów z MDR-TB z genotypową lub fenotypową wrażliwością na fluorochinolony jest 6-miesięczny schemat BPaLM. W przypadku braku możliwości jego zastosowania zaleca się indywidualizowane, dłuższe schematy leczenia oparte na lekach z tzw. grupy A, oraz co najmniej jednym z grupy B, trwające zwykle 18–20 miesięcy. (PTChP 2026, WHO 2025 a i 2025 b). Większość wytycznych (9/10) zaleca prowadzenie leczenia MDR-TB w warunkach ambulatoryjnych, w zdecentralizowanym modelu opieki skoncentrowanym na pacjencie, z hospitalizacją ograniczoną do przypadków uzasadnionych klinicznie, epidemiologicznie lub społecznie (PTChP 2026, WHO 2025a i 2025b, ATS/CDC/ERS/IDSA 2025 i ATS/CDC/ERS/IDSA 2019, NICE 2024 i NICE 2022, CTS 2020a i CTS 2020b). Standardem pozostaje leczenie bezpośrednio nadzorowane (DOT), przy czym leczenie nadzorowane za pomocą wideo (VOT) jest wskazywane jako potencjalna alternatywa, jeśli pozwalają na to warunki

techniczne i możliwości pacjenta (PTChP 2026, ATS/CDC/ERS/IDSA 2025, ATS/CDC/ERS/IDSA 2019, NICE 2024 i 2022, CDC 2023, SEPAR i SEIMC 2024). Wytyczne podkreślają znaczenie regularnego (co miesięcznego) monitorowania skuteczności i bezpieczeństwa leczenia oraz zaangażowania zespołu multidyscyplinarnego (PTChP 2026, ATS/CDC/ERS/IDSA 2025 i ATS/CDC/ERS/IDSA 2019, CTS 2020a i CTS 2020b, SEPAR i SEIMC 2024). Istotne miejsce zajmują działania wspierające przestrzeganie zaleceń terapeutycznych, w tym wsparcie organizacyjne, psychospołeczne i materialne (WHO 2025a i WHO 2025b, NICE 2024 i NICE 2022, CTS 2020a i CTS 2020b). Brytyjski NICE w przeglądzie dowodów naukowych wskazuje, że VOT może być rozwiązaniem bardziej elastycznym i mniej kosztownym niż bezpośredni nadzór nad pacjentem (DOT) w warunkach dużego zapotrzebowania. Za komparator wobec wnioskowanego świadczenia opieki zdrowotnej „Leczenie gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych” należy uznać leczenie prowadzone pod bezpośrednim nadzorem przez personel medyczny: w warunkach szpitalnych (hospitalizacji), ambulatoryjnych (wizyty pacjenta w wyznaczonych terminach w placówce nadzorującej leczenie).

Problem ekonomiczny

Zidentyfikowano dwie analizy ekonomiczne (Rosu 2023 i Nsengiyumva 2018) oceniające wykorzystanie cyfrowych technologii wspierających leczenie gruźlicy, w tym leczenie nadzorowane za pomocą wideo (VOT). Wyniki wskazują, że technologie cyfrowe mogą obniżać koszty leczenia w porównaniu ze standardowym leczeniem bezpośrednio nadzorowanym (DOT), przede wszystkim poprzez ograniczenie liczby wizyt pacjentów w placówkach ochrony zdrowia oraz związanych z nimi kosztów transportu i utraconego czasu.

W obu analizach VOT generowało oszczędności względem standardowego DOT, jednak nie było najbardziej korzystnym ekonomicznie rozwiązaniem. Większe oszczędności osiągały technologie, tj. 99DOTS, Wisepill czy nadzór prowadzony przez członka rodziny. Wyższe koszty VOT wynikały głównie z konieczności zapewnienia infrastruktury technicznej, dostępu do internetu oraz zaangażowania personelu medycznego w proces monitorowania.

Jednocześnie VOT umożliwia bezpośrednią obserwację przyjęcia leku przez pacjenta, co może zapewniać bardziej wiarygodny nadzór nad przestrzeganiem zaleceń niż rozwiązania rejestrujące jedynie otwarcie opakowania leku (99DOTS, Wisepill).

Jednakże możliwość ekstrapolacji wyników z analiz jest ograniczona, ponieważ badania zostały przeprowadzone w krajach o niskich dochodach, ograniczonych zasobach i wyższym odsetku zachorowalności na MDR-TB (Etiopia, Uganda, Indie, Brazylia).

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w 3-letnim horyzoncie czasowym w dwóch scenariuszach:

- „istniejącym” – zakładającym leczenie wszystkich pacjentów wyłącznie w warunkach hospitalizacji;*
- „nowym” – zakładającym objęcie finansowaniem ze środków publicznych wnioskowanego świadczenia leczenia gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych, przy jednoczesnym utrzymaniu leczenia stacjonarnego dla części chorych.*

Prognozowaną liczbę pacjentów przygotowano na podstawie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ z lat 2022–2025 z zastosowaniem modeli regresyjnych, która w wariancie podstawowym analizy wynosi:

w scenariuszu „istniejącym”:

217 pacjentów w 2027 r., 233 pacjentów w 2028 r., 250 pacjentów w 2029 r.;

w scenariuszu „nowym”:

objętych nowym świadczeniem ambulatoryjnym: 87 pacjentów w 2027 r., 93 pacjentów w 2028 r. oraz 100 pacjentów w 2029 r.,

pozostających w leczeniu szpitalnym: 130 pacjentów w 2027 r., 140 pacjentów w 2028 r. oraz 150 pacjentów w 2029 r.

W analizie przyjęto, że około 40% pacjentów z gruźlicą wielolekooporną może być leczonych w warunkach ambulatoryjnych (założenie to oszacowano na podstawie udziału pacjentów w programie pilotażowym w latach 2023–2025, w liczbie wszystkich pacjentów z gruźlicą wielolekooporną zidentyfikowanych w sprawozdawczości NFZ). Koszty nowego świadczenia oszacowano na podstawie doświadczeń programu pilotażowego. W kosztach nowego świadczenia nie uwzględniono farmakoterapii, przyjmując założenie, że z uwagi na wysokie ceny schematów lekowych, finansowanie leków stosowanych w leczeniu gruźlicy wielolekoopornej będzie nadal realizowane w ramach odrębnego mechanizmu/świadczenia. Ponadto przy założeniu stosowania tych samych schematów terapeutycznych w leczeniu ambulatoryjnym i stacjonarnym koszty farmakoterapii nie stanowią czynnika różnicującego porównywane scenariusze.

W wariancie podstawowym prognozowane koszty świadczenia wynoszą:

w scenariuszu „istniejącym”: dla opieki ambulatoryjnej: 0,0 zł w latach 2027–2029; natomiast dla hospitalizacji: 25,7 mln zł w 2027 r., 27,6 mln zł w 2028 r., 29,6 mln zł w 2029 r.;

w scenariuszu „nowym”:

dla opieki ambulatoryjnej; 892 tys. zł w 2027 r., 927 tys. zł w 2028 r., 968 tys. zł w 2029 r.; natomiast dla hospitalizacji: 15,4 mln zł w 2027 r., 16,6 mln zł w 2028 r., 17,8 mln zł w 2029 r.

Koszty inkrementalne, stanowiące różnicę pomiędzy scenariuszem „nowym” i „istniejącym”, wskazują na oszczędności dla płatnika publicznego we wszystkich analizowanych wariantach. Oszczędności, w wariancie podstawowym, wyniosły w poszczególnych latach analizy odpowiednio: 9,4 mln zł, 10,1 mln zł i 10,9 mln zł. Łączne oszczędności w trzyletnim horyzoncie czasowym oszacowano na 30,4 mln zł.

Uzyskane wyniki wskazują, że wdrożenie ambulatoryjnego modelu leczenia gruźlicy wielolekoopornej może prowadzić do istotnego ograniczenia kosztów hospitalizacji ponoszonych przez NFZ. Należy jednak uwzględnić, że analiza nie obejmowała części kosztów wdrożenia świadczenia, w tym kosztów organizacyjnych, wsparcia pacjentów, rozbudowy infrastruktury diagnostycznej oraz innych działań finansowanych dotychczas ze źródeł zewnętrznych w ramach programu pilotażowego (np. zatrudnienie personelu posługującego się językiem ukraińskim, zakup i wypożyczenie pacjentom sprzętu do telemonitoringu). Dodatkowo wyniki analizy obarczone są ograniczeniami wynikającymi z niepewności dotyczącej przyszłej, rzeczywistej liczby chorych, odsetka pacjentów realnie kwalifikujących się do leczenia ambulatoryjnego oraz założeń dotyczących przyszłej organizacji i finansowania wnioskowanego świadczenia.

Główne argumenty decyzji:

- Postępowanie zgodne z rekomendacjami WHO, które zalecają krótkie schematy leczenia i zmiany w organizacji systemu leczenia;
- Wstępne pozytywne wyniki programu pilotażowego;
- Mniejsze obciążenie bazy łóżkowej szpitali;
- Skrócenie procesu diagnostycznego;
- Potencjalne oszczędności dla systemu.

Uwaga Rady

Rada uznaje za konieczne harmonizację świadczenia z Krajowym Programem Zapobiegania i Zwalczania Gruźlicy oraz zapewnienie dostępu pacjentom do rekomendowanych leków i testów diagnostycznych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DMiOSZ.4100.5.2026 „Leczenie gruźlicy wielolekoopornej w warunkach ambulatoryjnych Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego”; data ukończenia: 23.09.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 143/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka
rzekomoporażna w przypadku nietolerancji pirydostygminy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Mytelase (ambenonii chloridum), tabletki 10 mg, we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporażna w przypadku nietolerancji pirydostygminy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia (MZ) jest ocena zasadności kontynuacji refundacji, w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporażna w przypadku nietolerancji pirydostygminy. Dnia 24 kwietnia 2023 r. Prezes Agencji wydał pozytywną rekomendację dla produktu Mytelase w ww. wskazaniu. Zgodnie z informacją zawartą w zleceniu MZ, w okresie styczeń-grudzień 2025 r. produkt leczniczy Mytelase w analizowanym wskazaniu został sprowadzony dla 31 pacjentów (53 pozytywnie rozpatrzonych wniosków), a łączna liczba opakowań z wydaną zgodą na refundację wynosiła 1 079 sztuk.

Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2026 r. produkt leczniczy Mytelase nie jest refundowany, natomiast jest obecnie dostępny, w ramach importu interwencyjnego, w 4.% aptek w Polsce.

Dowody naukowe

W ramach aktualizacji przeglądu systematycznego przeprowadzonego w 2023 roku nie odnaleziono nowych badań dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania ocenianej technologii w leczeniu miastenii ciężkiej rzekomoporażnej w przypadku nietolerancji pirydostygminy. Zidentyfikowano jedynie opisy pojedynczych przypadków wskazujących na zastosowanie chlorku ambenoniumu w populacji pacjentów z miastenią z obecnością przeciwciał przeciwko swoistej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK) (Stahl 2025) oraz z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR) (Watanabe 2026).

Najczęściej raportowanymi podejrzewanymi działaniami niepożądanymi odnotowanymi w trakcie stosowania chlorku ambenonium w bazie VigiAccess oraz produktu leczniczego Mytelase w bazie FAERS były zaburzenia żołądkowo-jelitowe oraz zaburzenia układu nerwowego.

Wytyczne praktyki klinicznej wskazują inhibitory acetylocholinesterazy jako podstawę objawowego leczenia miastonii, przy czym lekiem pierwszego wyboru jest pirydostygmina. Zaktualizowane (AWMF 2024, tj. aktualizacja wytycznych GNS 2016), a także jedne nowo włączone wytyczne Gilhus 2024 oraz polski Raport Miastenia 2023 są zgodne z wytycznymi GNS 2016 włączonymi do opracowania Agencji z 2023 r. i wskazują chlorek ambenonium jako alternatywny inhibitor acetylocholinesterazy (AChEI) drugiej linii w przypadku nietolerancji lub nieskuteczności pirydostygminy.

Problem ekonomiczny

Jak wyżej wspomniano, w okresie od stycznia do grudnia 2025 r. w ramach importu docelowego wydano 53 zgody na refundację 1 079 opakowań produktu Mytelase dla 31 pacjentów. Koszt jednego opakowania dla płatnika publicznego oszacowano na 42,84 PLN. Przy średnim zużyciu wynoszącym około 35 opakowań rocznie średni roczny koszt terapii jednego pacjenta wynosi około 1,5 tys. PLN. Przy założeniu populacji obejmującej 31 pacjentów przewidywane roczne wydatki płatnika publicznego wynoszą około 46,5 tys. PLN.

Główne argumenty decyzji:

- Skuteczność potwierdzona długoletnią praktyką kliniczną;
- Aktualne rekomendacje towarzystw naukowych;
- Znikomy wpływ na wydatki płatnika publicznego.

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: DOWM.414.3.2026 (Aneks do opracowania: OT.4211.1.2023) „Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporaźna w przypadku nietolerancji pirydostygminy”; data ukończenia: 23.09.2026 .



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 144/2026 z dnia 28 września 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Xuriden (uridine triacetate) we wskazaniu: encefalopatia
padaczkowa typu 50 zależna od urydyny

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Xuriden (uridine triacetate), granulat do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki 2 g, we wskazaniu: encefalopatia padaczkowa typu 50 zależna od urydyny.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Ocena zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Xuriden (uridine triacetate), granulat do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki 2 g, we wskazaniu encefalopatia padaczkowa typu 50 zależna od urydyny na potrzeby indywidualnego pacjenta w oparciu o załączoną informację z dokumentacji medycznej pacjenta (pacjent pediatryczny, chłopiec).

Dowody naukowe

W wyniku dokonanych przeszukiwań nie odnaleziono wytycznych odnoszących się do leczenia encefalopatii padaczkowej i rozwojowej wrażliwej na urydynę (typu 50 spowodowaną mutacją w genie CAD). Natomiast w ramach wcześniejszej oceny produktu leczniczego Vistogard, który zawiera tę samą substancję czynną co Xuriden, odnaleziono opisy i serie przypadków oraz trzy przeglądy niesystematyczne. Dostępne dane wskazały, że stosowanie urydyny lub jej pochodnych, tj. monofosforanu urydyny (UMP) i trójoctanu urydyny (TAU), u pacjentów z DEE50 może wiązać się ze zmniejszeniem lub ustąpieniem napadów padaczkowych, poprawą rozwoju psychoruchowego oraz normalizacją zaburzeń hematologicznych. Dane dotyczące TAU były ograniczone i obejmowały jedynie dwóch pacjentów. Najnowszych danych dostarcza publikacja Sekhon 2026, w której przedstawiono serię 5 pacjentów z niedoborem CAD oraz niesystematyczny przegląd literatury z 59 przypadkami opisanymi w literaturze od 2015 r. U wszystkich leczonych pacjentów uzyskano poprawę kontroli napadów. Odpowiedź występowała niekiedy w ciągu 2-3 dni od rozpoczęcia terapii. Obserwowano również poprawę sprawności

ruchowej, ataksji, mowy, funkcji poznawczych, jednak u części pacjentów utrzymywały się zaburzenia rozwojowe. U wszystkich leczonych nastąpiła poprawa lub normalizacja parametrów hematologicznych, w tym stężenia hemoglobiny, wskaźnika zróżnicowania objętości erytrocytów (RDW, ang. red cell distribution width) i obrazu rozmazu krwi. W niesystematycznym zestawieniu literatury padaczkę stwierdzono u 56/59 pacjentów, opóźnienie lub regres rozwoju u wszystkich pacjentów z dostępnymi danymi, a ataksję u 24/53 chorych. Spośród 31 wcześniej opisanych pacjentów leczonych urydyną, UMP lub TAU u 29 odnotowano znaczne zmniejszenie lub ustąpienie napadów, natomiast poprawę rozwojową, szczególnie w zakresie funkcji ruchowych, wykazano u 19/23 pacjentów. We wszystkich przypadkach, w których monitorowano parametry hematologiczne, obserwowano ustąpienie niedokrwistości i anizopoikilocytozy. Korzyści kliniczne raportowano podczas stosowania różnych postaci urydyny w dawkach odpowiadających 67-150 mg/kg mc/dobę. W publikacji Sekhon 2026 nie odnotowano działań niepożądanych związanych z suplementacją urydyny.

Dane dotyczące długoterminowego bezpieczeństwa są jednak ograniczone i nie pozwalają na pełną ocenę ryzyka terapii. Nie wykazano również przewagi TAU nad urydyną lub UMP, przy czym przeprowadzenie wiarygodnego porównania poszczególnych postaci leczenia nie jest możliwe ze względu na małą liczbę pacjentów, różnice w dawkowaniu oraz niejednorodne raportowanie wyników. Natomiast w celu odnalezienia informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania leku Xuriden przeprowadzono przeszukanie stron internetowych organizacji: EMA, FDA, URPL, WHO. Na stronie FDA odnaleziono zgłoszenia dotyczące bezpieczeństwa dla 21 pacjentów dotyczących stosowania Xuridenu, jednak nie podano, w jakim wskazaniu. Poważne zdarzenia niepożądane odnotowano u 6 przypadków, z czego 1 dotyczył śmierci. Wśród najczęściej zgłaszanych znajdują się: urazy, zatrucia i powikłania po zabiegach (9), zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania (5), zaburzenia żołądkowo-jelitowe (4) oraz zaburzenia psychiczne (3).

Reasumując, jakość dostępnych dowodów należy ocenić jako bardzo niską. Wyniki pochodzą wyłącznie z niekontrolowanych opisów i serii przypadków oraz przeglądów niesystematycznych. Dodatkowymi ograniczeniami są niewielka i klinicznie heterogeniczna populacja, jednoczesne stosowanie leków przeciwpadaczkowych, ryzyko selektywnej publikacji przypadków z korzystną odpowiedzią oraz niepełne dane dotyczące rodzaju preparatu, okresu obserwacji i długoterminowego bezpieczeństwa.

Problem ekonomiczny

Koszt rocznej terapii dla 1 pacjenta wyniesie 3,5 mln zł. Przy założeniu, zgodnie z ChPL Xuriden, że niewykorzystana część granulek z saszetki nie może być ponownie użyta, będzie to 4 mln zł. Gdyby przyjąć, że dzienne dawkowanie

pacjenta w zleceniu podane jest dla monofosforanu urydyny to roczny koszt terapii dla 1 pacjenta wyniósłby 2,6 mln zł, a przy przyjęciu, że dzienne dawkowanie pacjenta w zleceniu podane jest dla trójoctanu urydyny to roczny koszt terapii dla 1 pacjenta wyniósłby 2,3 mln zł. Uwagę należy zwrócić na niepewność związaną z przyszłym zużyciem leku (w dokumentacji medycznej nie podano wieku pacjenta, jednak użyto określenia „chłopiec”, co może oznaczać, iż waga pacjenta będzie w przyszłości wzrastała wraz z wiekiem – dawkowanie zależne jest od masy ciała). Obliczenia wykonano na 1 pacjenta, jednak nie można wykluczyć zwiększenia liczby zdiagnozowanych przypadków i zwiększenia liczby wniosków refundacyjnych.

Główne argumenty decyzji:

- *Niska jakość dostępnych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii;*
- *Bardzo duży koszt terapii potęgowany założeniem, że ze wzrostem wieku i wagi pacjenta będzie on stale wzrastał;*
- *Nie można wykluczyć zwiększenia liczby zdiagnozowanych przypadków i zwiększenia liczby wniosków refundacyjnych.*

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: OTAP.414.4.2026 (Aneks do opracowania: OT.4211.6.2025) „Xuriden (uridine triacetate) we wskazaniu: encefalopatia padaczkowa typu 50 zależna od urydyny”; data ukończenia: 23 września 2026 r.