



DOR.001.42.2026.PP

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 41/2026
w dniu 5 października 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 9:58.

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

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Robert Bryzek
4. Andrzej Dąbrowski
5. Małgorzata Dziedziak
6. Marcin Lipowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Zbigniew Siudak
9. Anna Socha-Banasiak

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 zakwalifikowania świadczeń opieki zdrowotnej: „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami do 18 r.ż. z neurofibromatozami oraz pokrewnymi im rasopatiami (NF/RAS)” oraz „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami > 18 r.ż. z neurofibromatozą typu 1. (NF-1)”, jako świadczeń gwarantowanych.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.52 „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32) lub nowotworem złośliwym części nosowej gardła (ICD-10 C11)”.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Andembry (garadacimabum) w ramach programu lekowego B.122. „Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)”.
5. Zakończenie posiedzenia.

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

Rada 9 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji przedstawił kluczowe dane z raportu dot. koordynowanej opieki nad świadczeniobiorcami z neurofibromatozami.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli: Anna Socha-Banasiak, Małgorzata Bała, Artur Bachta i Ewa Obuchowicz.

Rada wysłuchała stanowiska przedstawiciela pacjentów, który również odpowiadał na pytania.

W dalszej dyskusji uczestniczyli: Andrzej Dąbrowski, Anna Socha-Banasiak, Ewa Obuchowicz, Małgorzata Bała, Marcin Lipowski i Małgorzata Dziedziak.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Anna Socha-Banasiak i Ewa Obuchowicz.

Przewodnicząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji omówił raport dotyczący leku Tevimbra.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Dziedziak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Andrzej Dąbrowski.

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

Ad 4. Analitik Agencji podsumował raport dotyczący leku Andembry.

Rada wysłuchała stanowiska eksperta.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli Andrzej Dąbrowski i Małgorzata Bała.

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

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięły Małgorzata Bała i Małgorzata Dziedziak.

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

Ad 5. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 13:21.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 145/2026 z dnia 5 października 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczeń opieki zdrowotnej
dot. neurofibromatozy jako świadczeń gwarantowanych

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczeń opieki zdrowotnej:

- „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami do 18 r.ż z neurofibromatozami oraz pokrewnymi im rasopatiami (NF/RAS)”,
- „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami > 18 r.ż. z neurofibromatozą typu 1. (NF-1)”

jako odrębnych świadczeń gwarantowanych.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stanowisko dotyczy zasadności objęcia finansowaniem ze środków publicznych modelu koordynowanej opieki nad pacjentami z neurofibromatozami i pokrewnymi rasopatiami (NF/RAS), obejmującego populację pediatryczną z NF/RAS i populację dorosłych z NF1. Celem proponowanego rozwiązania jest zapewnienie kompleksowej, wielospecjalistycznej i ciągłej opieki dostosowanej do specyfiki tych rzadkich chorób.

Zasadniczy problem decyzyjny sprowadza się do rozstrzygnięcia, czy istnieje potrzeba utworzenia i finansowania odrębnego modelu koordynowanej opieki dedykowanego pacjentom z NF/RAS, czy też potrzeby zdrowotne tej populacji mogą być efektywnie zabezpieczone w ramach obecnie funkcjonujących rozwiązań systemowych, w szczególności w ramach Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich (OECR).

W ramach proponowanego modelu opieki przewidziano okresowe kontrole i badania diagnostyczne, konsultacje wielospecjalistyczne, poradnictwo genetyczne, porady w trybie pilnym oraz konsultacje telemedyczne.

Istotnym elementem modelu jest również koordynacja procesu diagnostyczno-terapeutycznego, która zgodnie z Kartą Świadczenia Opieki Zdrowotnej miałyby być finansowana w formie miesięcznego ryczału przypisanego do ośrodka realizującego świadczenie.

Program pilotażowy koordynowanej opieki nad pacjentami z NF/RAS był realizowany w latach 2020–2026, a udzielanie świadczeń zakończono 30 kwietnia 2026 r. Program realizowało 7 ośrodków koordynujących; objęto nim 2 830 pacjentów, a łączna wartość rozliczonych świadczeń i kosztów koordynacji wyniosła 7,36 mln zł.

W okresie realizacji programu we wszystkich ośrodkach odnotowano wzrost liczby pacjentów objętych opieką w porównaniu z okresem przed przystąpieniem do pilotażu. W analizowanej grupie dorosłych pacjentów po rozpoczęciu programu odnotowano zmniejszenie liczby świadczeń w AOS o 37%, AOS-ASDK o 16% oraz w opiece psychiatrycznej i leczeniu uzależnień oraz pilotażu CZP o 10%. Pacjenci pozytywnie oceniali m.in. dostęp do zespołu posiadającego doświadczenie w NF/RAS i koordynatora oraz uporządkowanie planu leczenia.

Interpretację wyników ograniczają przede wszystkim brak grupy kontrolnej, opisowy charakter części danych, ograniczone dane dotyczące satysfakcji pacjentów oraz brak oceny efektów klinicznych. Wyniki pilotażu pozwalają zatem przede wszystkim na ocenę aspektów organizacyjnych, dostępności i wykorzystania świadczeń, natomiast nie pozwalają na ocenę wpływu modelu na stan zdrowia pacjentów, występowanie lub wczesne wykrywanie powikłań ani jakość życia.

Dowody naukowe:

W badaniu ankietowym (Ju 2025), w którym oceniano doświadczenia i poziom satysfakcji pacjentów z NF1, członków ich rodzin i opiekunów oraz pracowników ochrony zdrowia z funkcjonujących w Wielkiej Brytanii wskazuje, że do najważniejszych zidentyfikowanych problemów należały: brak jasno zdefiniowanej ścieżki opieki, rozproszenie odpowiedzialności pomiędzy poszczególnymi świadczeniodawcami, brak ciągłości opieki w okresie przechodzenia pacjentów z opieki pediatrycznej do opieki nad osobami dorosłymi, a także niewystarczające uwzględnienie ich potrzeb psychologicznych, behawioralnych i edukacyjnych. Dostęp do koordynatora opieki wiązał się z wyższym poziomem satysfakcji z otrzymywanej opieki (71% vs 25%), jednak ze względu na charakter badania nie można wnioskować o zależności przyczynowej.

Wytyczne kliniczne krajowe: PLTR 2024, PTO 2022, PTOHD 2019; międzynarodowe: SOBOPE 2025 (Brazylia), ERN GENTURIS 2023 (Europa), ERN GENTURIS 2022a (Europa), ERN GENTURIS 2022b (Europa), ERN GENTURIS 2021a (Europa), ERN GENTURIS 2021b (Europa), AAP 2019 (USA), ACMG 2018

(USA)) są zgodne co do konieczności zapewnienia pacjentom wielospecjalistycznej opieki prowadzonej z udziałem doświadczonych ośrodków i specjalistów, obejmującej poradnictwo genetyczne, regularne monitorowanie kliniczne i obrazowe oraz wsparcie psychologiczne. Zakres i częstość nadzoru powinny być indywidualizowane w zależności od wieku, fenotypu i obrazu klinicznego pacjenta.

W przypadku NF1 wytyczne wskazują na potrzebę wielospecjalistycznej opieki dostosowanej do wieku i obrazu klinicznego pacjenta. Dzieci powinny pozostawać pod opieką pediatry specjalizującego się w NF1, natomiast dorośli pod opieką lekarza POZ, z okresowymi ocenami przez eksperta NF1. Istotne jest zapewnienie ciągłości opieki w okresie przejścia z opieki pediatrycznej do opieki nad dorosłymi, a pacjenci z powikłaniami, zwłaszcza nowotworowymi, powinni być kierowani do wyspecjalizowanych ośrodków referencyjnych.

Zalecany jest regularny nadzór dostosowany do wieku, obrazu klinicznego i ryzyka powikłań, obejmujący ocenę co najmniej raz w roku u dzieci do 10. r.ż., co 2 lata u starszych dzieci i co 3 lata u dorosłych, częściej w okresie przejścia do opieki nad dorosłymi. PTO 2022 zaleca zwykle kontrole coroczne, a u pacjentów bez wysokiego ryzyka ocenę specjalistyczną co 2–3 lata oraz coroczną kontrolę w POZ. Wytyczne wskazują również na znaczenie poradnictwa genetycznego oraz wsparcia rehabilitacyjnego, edukacyjnego i społecznego.

Wytyczne dotyczące NF2-schwannomatozy (ERN GENTURIS 2021a) oraz schwannomatozy niezwiązanej z NF2 (ERN GENTURIS 2022b) wskazują na potrzebę długoterminowego nadzoru prowadzonego przez doświadczonych specjalistów lub wyspecjalizowane ośrodki referencyjne, regularnego monitorowania z wykorzystaniem MRI (zazwyczaj co 2-3 lata lub częściej w przypadku wskazań klinicznych), poradnictwa genetycznego oraz zapewnienia wsparcia psychologicznego. Nadzór i częstość monitorowania powinny być dostosowane do wieku, genotypu i obrazu klinicznego.

Z przeglądu rozwiązań organizacyjnych w innych krajach wynika, że opieka nad pacjentami z neurofibromatozami jest najczęściej organizowana w ramach systemów opieki nad chorobami rzadkimi i realizowana przez wyspecjalizowane ośrodki eksperckie, zapewniające wielodyscyplinarną, skoordynowaną opiekę oraz regularne monitorowanie powikłań. W większości analizowanych krajów nie zidentyfikowano odrębnych, ogólnokrajowych programów opieki koordynowanej dedykowanych wyłącznie pacjentom z neurofibromatozami. W Anglii zidentyfikowano odrębne świadczenia dla pacjentów z NF1 o złożonym przebiegu oraz NF2, realizowane w ramach świadczeń wysokospecjalistycznych NHS England.

Problem ekonomiczny

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że w wariantcie podstawowym wdrożenie opieki koordynowanej może wiązać się z całkowitymi kosztami na poziomie 4,7 mln zł w 2027 r., 4,9 mln zł w 2028 r. i 5,2 mln zł w 2029 r. oraz z oszczędnościami inkrementalnymi w porównaniu ze scenariuszem istniejącym, wynoszącymi odpowiednio około 582 tys. zł, 1,2 mln zł i 1,9 mln zł. Oszczędności wykazano również w wariantcie maksymalnym. Natomiast w wariantcie minimalnym oszacowano wzrost kosztów o około: 328 tys. zł w 2027 r., 156 tys. zł w 2028 r., przy niewielkich oszczędnościach na poziomie ok. 35 tys. zł w 2029 r., wynikających przede wszystkim ze stałego kosztu ryczałtów na koordynację przypadającego na niewielką liczbę pacjentów. Na wyniki analizy największy wpływ mają założenia dotyczące liczebności populacji docelowej, struktura wykorzystania poszczególnych świadczeń oraz liczba ośrodków realizujących świadczenie i wysokość miesięcznego ryczałtu za koordynację. Interpretację oszacowań ogranicza niepewność związana z rzeczywistą liczbą pacjentów spełniających kryteria kwalifikacji oraz zakresem wykorzystania świadczeń po wdrożeniu modelu w skali ogólnokrajowej. Wysokość miesięcznego ryczałtu za koordynację oszacowano na doświadczeniach programu pilotażowego przyjmując miesięczny ryczałt w wysokości 8 436 zł na ośrodek.

Porównanie podmiotów realizujących program pilotażowy opieki koordynowanej nad pacjentami z neurofibromatozami z wykazem Ośrodków Eksperckich Chorób Rzadkich (OECR) wykazało, że pięć z siedmiu ośrodków uczestniczących w pilotażu posiada status OECR. Wskazuje to na częściowe pokrywanie się infrastruktury wykorzystywanej do realizacji programu pilotażowego z istniejącą siecią ośrodków dedykowanych opiece nad osobami z chorobami rzadkimi. Wynik ten sugeruje zasadność uwzględnienia roli OECR w dalszych analizach dotyczących organizacji opieki nad pacjentami z NF/RAS, w tym oceny możliwości wykorzystania funkcjonujących już rozwiązań systemowych. Jednocześnie należy podkreślić, że status OECR nie stanowi samodzielnej przesłanki do realizacji świadczeń przeznaczonych dla pacjentów z NF/RAS, ponieważ nie potwierdza ani doświadczenia ośrodka w zakresie opieki nad tą grupą chorych, ani jego zdolności organizacyjnej do objęcia opieką całej populacji docelowej.

W przypadku wprowadzenia ocenianego świadczenia do wykazu świadczeń gwarantowanych istnieje potencjalne ryzyko częściowego powielania rozwiązań organizacyjnych i podwójnego finansowania świadczeń realizowanych już w ramach innych mechanizmów systemowych, w szczególności dotyczących kompleksowej oceny specjalistycznej, porad monitorujących, koordynacji opieki oraz konsultacji wielospecjalistycznych. Ryzyko to może być szczególnie istotne

w sytuacji, gdy ten sam podmiot będzie jednocześnie posiadał status OECR właściwego dla NF/RAS oraz realizował świadczenie koordynowanej opieki nad pacjentami z neurofibromatozą. Wymaga to uwzględnienia na etapie projektowania warunków finansowania i organizacji świadczenia.

Główne argumenty decyzji

- Ryzyko częściowego powielania rozwiązań organizacyjnych i podwójnego finansowania świadczeń gwarantowanych z OECR.*
- Brak odrębnych, ogólnokrajowych programów opieki koordynowanej dedykowanych wyłącznie pacjentom z neurofibromatozami w innych krajach.*
- Niepewny wpływ na wydatki dla płatnika publicznego.*

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 w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej nr: DRISZOZ.4100.3.2026 „Koordynowana opieka nad świadczeniobiorcami z neurofibromatozami oraz pokrewnymi im rasopatiami (NF/RAS)”, data ukończenia: 01.10.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

- Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 146/2026 z dnia 5 października 2026 roku

w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.52 „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32) lub nowotworem złośliwym części nosowej gardła (ICD-10 C11)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 08720598340280, w ramach programu lekowego B.52 „Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32) lub nowotworem złośliwym części nosowej gardła (ICD-10 C11)”, na zaproponowanych warunkach.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Aktualnie produkt Tevimbra jest finansowany ze środków publicznych, w ramach PL B.6 oraz PL B.58.

Produkt leczniczy Tevimbra nie podlegał dotychczas ocenie w AOTMiT we wnioskowanym wskazaniu, natomiast od 1 lipca 2026 r. w ramach PL B.52 jest refundowany lek Loqtorzi (toripalimab), u dorosłych pacjentów z rakiem jamy nosowo-gardłowej z nawrotem miejscowym lub regionalnym po leczeniu loco regionalnym lub przerzutami odległymi (IVB).

Tislelizumab jest wariantem humanizowanego przeciwciała monoklonalnego z klasy immunoglobulin G4 (IgG4) skierowanym przeciwko PD-1, wiążącym się z zewnątrzkomórkową domeną ludzkiego PD-1.

Dowody naukowe

Zarówno toripalimab, jak i tislelizumab mają mocne dowody z randomizowanych badań III fazy, w I linii nawrotowego/przerzutowego raka nosogardła. Nie ma jednak badania head-to-head toripalimab vs tislelizumab, więc nie

ma wiarygodnych podstaw, by uznać jeden z nich za klinicznie skuteczniejszy od drugiego.

Najważniejsza różnica w efektach klinicznych wskazuje, że toripalimab ma bardziej jednoznacznie wykazany, statystycznie istotny wpływ na OS, w klasycznej analizie ITT. Dla tislelizumabu OS jest bardzo obiecujący, ale formalna istotność statystyczna nie została osiągnięta. Wynika to głównie z faktu, że duża część pacjentów z grupy kontrolnej wdrożyła tislelizumab (cross-over) jeszcze w trakcie badania, co zatarło różnicę między grupami.

Badania rejestracyjne (III fazy) obu leków, dla raka nosogardła zostały przeprowadzone w populacji azjatyckiej.

Wytyczne kliniczne

NCCN 2026 i NIO-PIB-NCCN 2025 u pacjentów z chorobą nawrotową, nieoperacyjną, oligometastatyczną lub przerzutową (bez możliwości leczenia chirurgicznego lub radioterapii) zalecają w pierwszej linii jako schemat preferowany toripalimab z gem-cis (kategoria 1), natomiast tislelizumab z gem-cis pozycjonowany jest wśród innych zalecanych schematów w pierwszej linii z kategorią 2B.

Wytyczne SEOM-TTCC 2025 wskazują, że chemioterapia oparta na platynie stanowi podstawę leczenia pierwszego rzutu u pacjentów z nawracającym lub przerzutowym rakiem nosogardła, niekwalifikującym się do leczenia radykalnego. Natomiast, w oparciu o ostatnie randomizowane badania fazy III, połączenie cisplatyny i gemcytabiny z przeciwciałem przeciwko białku programowanej śmierci komórek 1 (PD-1) jest obecnie uważane za standard opieki w leczeniu pierwszego rzutu nawrotowego lub przerzutowego raka płaskonabłonkowego.

Problem ekonomiczny

W związku z objęciem od 1 lipca 2026 r. refundacją produktu leczniczego Loqtorzi (toripalimab), stanowiącego możliwy komparator dla tislelizumabu, analitycy Agencji przeprowadzili porównanie kosztów obu substancji czynnych. W uproszczonych obliczeniach przyjęto dawkowanie zgodne z ChPL, RDI równe 100%, 17,33 podań rocznie oraz roczny i dwuletni czas leczenia.

Roczny koszt tislelizumabu wyniósł [redacted] i [redacted], względem [redacted] i [redacted] dla toripalimabu. Natomiast koszt dwuletni stosowania tislelizumabu wyniósł odpowiednio [redacted] względem [redacted] i 1 309 399 PLN [redacted] dla toripalimabu. Oceniana interwencja była zatem [redacted] od toripalimabu o około [redacted] z RSS oraz o około [redacted] bez RSS.

Porównanie to ma charakter uproszczonej analizy kosztów i nie obejmuje różnic w efektach zdrowotnych ani pełnego zakresu kosztów leczenia.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy w wariantcie podstawowym, w przypadku objęcia refundacją leku Tevimbra w ramach wnioskowanego programu lekowego z perspektywy NFZ nastąpi [] wydatków [] [] odpowiednio w I. i II. roku refundacji w wariantcie z RSS.

Rekomendacje refundacyjne

Rekomendacje niemieckich agencji IQWiG 2025 oraz GBA 2026 są negatywne. Natomiast kanadyjska agencja CDA-AMC 2026 wydała rekomendację pozytywną warunkowo.

Kanadyjska agencja CDA-AMC 2026 uznała, że dostępne dane kliniczne, pochodzące głównie z badania RATIONALE-309, wskazują na istotną wartość kliniczną terapii wyrażoną wydłużeniem przeżycia wolnego od progresji choroby oraz potencjalną korzyścią w zakresie przeżycia całkowitego. Jednocześnie zwrócono uwagę na niepewność dotyczącą opłacalności technologii i konieczność obniżenia ceny leku.

Odmienne stanowisko zajęły niemieckie instytucje IQWiG 2025 i G-BA 2026, które na podstawie tych samych danych klinicznych (badanie RATIONALE-309) uznały, że nie wykazano dodatkowej korzyści terapeutycznej tislelizumabu względem standardowej chemioterapii (gemcytabina i cisplatyna). W szczególności nie potwierdzono istotnej poprawy przeżycia całkowitego, jakości życia ani innych kluczowych parametrów klinicznych, które mogłyby uzasadniać przyznanie dodatkowej korzyści terapeutycznej. Ponadto w analizie bezpieczeństwa odnotowano częstsze występowanie niektórych immunologicznych działań niepożądanych oraz gorączki w grupie otrzymującej tislelizumab.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę, na dzień złożenia wniosku (31.03.2026 r.) lek Tevimbra w leczeniu NLPC jest finansowany w 5 krajach (spośród 31) UE i EFTA (Austria, Luksemburg, Niemcy, Norwegia, Szwecja).

Główne argumenty decyzji

- Aktualne wytyczne międzynarodowe wymieniają tislelizumab w raku nosogardła jako jedną z opcji terapeutycznych, ale wskazują toripalimab jako opcję preferowaną.*
- W ramach programu lekowego B.52 refundowana już jest terapia lekiem (toripalimab), posiadającym zbliżony mechanizm działania do tislelizumabu.*
- Brak dowodów na większą skuteczność kliniczną tislelizumabu, niedojrzałe wyniki badań klinicznych.*

- *Większość krajów UE i EFTA nie refunduje terapii tislelizumabem w NPC.*

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.4131.8.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu lekowego B.52: »Leczenie chorych z płaskonabłonkowym rakiem narządów głowy i szyi (ICD-10 C01, C02, C03, C04, C05, C06, C09, C10, C12, C13, C14, C32) lub nowotworem złośliwym części nosowej gardła (ICD-10 C11)«”, data ukończenia: 25 września 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BeOne Medicines Ireland Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BeOne Medicines Ireland Limited 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: BeOne Medicines Ireland Limited.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Topalliance Biosciences Europe Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Topalliance Biosciences Europe Limited o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Topalliance Biosciences Europe Limited.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnice przedsiębiorców (Topalliance Biosciences Europe Limited, BeOne Medicines Ireland Limited).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Topalliance Biosciences Europe Limited, BeOne Medicines Ireland Limited o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

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

medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: *Topalliance Biosciences Europe Limited, BeOne Medicines Ireland Limited.*



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 147/2026 z dnia 5 października 2026 roku
w sprawie oceny leku Andembry (garadacimabum)
w ramach programu lekowego B.122. „Leczenie zapobiegawcze
chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku
naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Andembry (garadacimabum), roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 200 mg, 1 wstrzyk., GTIN: 04047725131219, w ramach programu lekowego B.122. „Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10: D 84.1)”, na zaproponowanych warunkach.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Wnioskowane wskazanie obejmuje zastosowanie garadacymabu w rutynowej profilaktyce u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, z nawracającymi, ciężkimi napadami wrodzonego obrzęku naczynioruchowego związanego z niskim poziomem inhibitora C1-esterazy lub jego obniżoną funkcjonalnością (co najmniej 6 ataków, które wymagały użycia leku ratunkowego w ciągu ostatnich 6 miesięcy).

Wrodzony obrzęk naczynioruchowy (HAE) to rzadka choroba genetyczna, która powoduje nieprzewidywalne obrzęki tkanki podskórnej i podśluzówkowej. Obrzęk w obrębie gardła i krtani może prowadzić do zagrażającej życiu niedrożności dróg oddechowych, z ryzykiem zgonu sięgającym 30% przy braku leczenia. HAE w większości przypadków spowodowany jest mutacjami w genie SERPING1 kodującym inhibitor C1-esterazy (C1-INH), co powoduje niedobory (HAE typ 1) lub zaburzoną funkcję (HAE typ 2) C1-INH. W Polsce, wg danych NFZ z 2024r., świadczenia z kodem rozpoznania głównego D84.1 otrzymuje świadczenia ok. 760 osób, rocznie liczba nowych zachorowań wynosi kilka przypadków.

Oceniany lek Andembry (garadacimabum), to w pełni ludzkie przeciwciało monoklonalne klasy IgG4, swoiście wiążące się z łańcuchem β aktywowanego czynnika XII. Poprzez swoje działanie garadacimab ogranicza aktywację szlaku kontaktowego i kaskady kalikreina-bradykinina, co redukuje ryzyko napadów obrzęków u pacjentów z HAE.

Dowody naukowe

Skuteczność garadacymabu w profilaktyce napadów HAE typu I i II była oceniana w badaniu RCT III fazy VANGUARD, w którym uczestniczyło 64 pacjentów. W trakcie badania (mediana czasu leczenia ok. 9,5 miesiąca), około 60% pacjentów nie miało napadów HAE.

Aktualne stosowane i refundowane w profilaktyce długoterminowej napadów HAE w ramach programu B.122 leki tj. lanadelumab i berostralstat, nie były porównywane z garadacimabem w badaniach head-to-head. Dostępne są publikacje oparte na porównaniach pośrednich, które wskazują na wysoką i porównywalną skuteczność ww. terapii (szczególnie lanadelumabu vs garadacimabu) w kluczowych punktach końcowych.

Wytyczne kliniczne

Krajowe i międzynarodowe wytyczne kliniczne, spójnie rekomendują w leczeniu służącym długoterminowej profilaktyce u pacjentów z HAE spowodowanym niedoborem C1-INH, garadacymab na równi z berotralstatem, donidalorsenem i lanadelumabem, jako leki pierwszego wyboru.

Problem ekonomiczny

Analiza wpływu wnioskowanej refundacji na budżet wiąże się z wysoką niepewnością w oszacowaniu populacji docelowej, gdyż na podstawie dostępnych danych nie można obecnie wskazać jednoznacznie zdefiniowanej subpopulacji pacjentów spełniających kryteria kwalifikacji do długoterminowej profilaktyki HAE, która odnosiłaby istotnie większą korzyść ze stosowania ocenianej technologii w porównaniu z pozostałymi dostępnymi terapiami. Potencjalnie większą korzyść kliniczną mogą odnieść pacjenci z częstymi, ciężkimi lub obciążającymi napadami HAE, jednocześnie jednak istnieje ryzyko nieuzasadnionej zmiany dotychczasowego leczenia o zadowalającej skuteczności na nową terapię.

Zwracają uwagę duże różnice w wynikach analizy ekonomicznej wnioskodawcy i własnych oszacowaniach Agencji. Zgodnie z obliczeniami własnymi analityków Agencji stosowanie garadacymabu w porównaniu z lanadelumabem lub berotralstatem [REDACTED]

Oszacowany ICUR względem lanadelumabu wyniósł [REDACTED]

[REDACTED]. Z kolei ICUR [REDACTED]

oszacowany dla porównania z berotralstatem wyniósł [REDACTED]

Rekomendacje refundacyjne

Dostępne są 3 pozytywne rekomendacje (CDA-AMC, HAS, G-BA) oraz jedna rekomendacja pozytywna warunkowa (NICE) dotyczące garadacymabu. Refundację uzasadniano istotnym ograniczeniem częstości napadów HAE względem placebo, korzystnym profilem bezpieczeństwa oraz częściowym zaspokojeniem niezaspokojonych potrzeb terapeutycznych. Główne zastrzeżenia dotyczyły braku bezpośrednich porównań z aktywnymi komparatorami, ograniczeń analiz pośrednich oraz niepewności ekonomicznych związanych z kosztem i wartością terapeutyczną leku.

Główne argumenty decyzji

- Brak badań bezpośrednio porównujących wnioskowaną terapię z refundowanymi komparatorami.
- Wysokie koszty terapii, duże potencjalne obciążenia dla płatnika publicznego.
- Nie wykazano wyższości tego leku w stosunku do obecnie dostępnych komparatorów, zatem cena leku nie powinna być wyższa.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.7.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Andembry (garadacymab) w ramach programu lekowego »Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu (ICD-10 D84.1)«”, data ukończenia: 22 września 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone kolorem czarnym stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (BioCryst Ireland Limited, Takeda Pharma sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem BioCryst Ireland Limited, Takeda 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 2022 r., poz.902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233) i , art. 35 ust. 4a - 4b i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: BioCryst Ireland Limited, Takeda Pharma sp. z o.o.