



DOR.001.43.2026.LAn

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 42/2026
w dniu 12 października 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Maciej Karaszewski otworzył posiedzenie o godzinie 09:58.

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

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

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Koselugo (selumetinibum) w ramach programu lekowego B.155. „Leczenie chorych z nerwiakowłókniakami splotowatymi w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1) (ICD-10: Q85.0).
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Xiaflex (collagenasum clostridium histolyticum) we wskazaniu: choroba Peyroniego po nieskutecznym leczeniu zabiegami ESWT, niesterydowymi lekami przeciwzapalnymi, tadalafillem, interferonem alfa, witaminą E i terapią trakcyjną bez możliwości leczenia chirurgicznego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Basecal 200 we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria

izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, deficyt beta – ketotiolazy oraz choroba syropu klonowego.

5. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”.
6. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnej diagnostyki endometriozy oraz edukacji zdrowotnej dla mieszkanki Ostrowa Wielkopolskiego”.
7. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji immunoglobulin we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie chorych w zespole sztywności uogólnionej, w ramach programu lekowego B.67 „Leczenie immunoglobulinami osób z chorobami neurologicznymi”.
8. Przygotowanie opinii w sprawie kontynuacji refundacji substancji czynnych amisulpridum, aripiprazolum, olanzapinum, quetiapinum, risperidonum, ziprazidonum, sertindolum we wskazaniach pozarejestacyjnych: postaci doustnej F21; F22; F23; F24; F25; F28; F29 wg ICD-10.
9. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Marcin Lipowski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Koselugo, 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 10 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analitik Agencji omówił raport dot. leku Koselugo (selumetinibum).

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

Głos zabrali: Andrzej Dąbrowski, Maciej Karaszewski i Marcin Kołakowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Roman Junik i Marcin Kołakowski, a przedstawił Roman Junik.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Maciej Karaszewski, Marcin Kołakowski i Roman Junik.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za”, 1 głosem „wstrzymującym się”, z uwagi na konflikt interesów, uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analitik Agencji przedstawił prezentację o leku Xiaflex (collagenasum clostridium histolyticum).

Głos zabrali Marcin Lipowski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotował i przedstawił Marcin Lipowski.

Maciej Karaszewski doprecyzował treść uchwały, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji zaprezentował kluczowe dane odnoszące się do środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Basecal 200.

Projekt stanowiska Rady przygotowała i przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Wobec braku głosów w dyskusji, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji przedstawił założenia programu polityki zdrowotnej gminy Konstancin-Jeziorna z zakresu diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Robert Bryzek.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji omówił projekt programu polityki zdrowotnej Ostrowa Wielkopolskiego dot. endometriozy.

Głos zabrali: Maciej Karaszewski, Zbigniew Siudak i Marcin Kołakowski.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Anna Czerniecka-Kubicka.

Treść uchwały doprecyzowali Maciej Karaszewski i Anna Czerniecka-Kubicka.

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

Ad 7. Andrzej Dąbrowski przedstawił projekt opinii odnoszący się do immunoglobulin we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Po doprecyzowaniu treści uchwały, w czym uczestniczyli Maciej Karaszewski i Andrzej Dąbrowski, Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Zbigniew Siudak przedstawił projekt opinii odnoszący się do substancji czynnych amisulpridum, aripiprazolum, olanzapinum, quetiapinum, risperidonum, ziprazidonum, sertindolum we wskazaniach pozarejestacyjnych.

Głos zabrał Maciej Karaszewski, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 12:17.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 148/2026 z dnia 12 października 2026 roku
w sprawie oceny leku Koselugo (selumetinibum) w ramach
programu lekowego B.155. „Leczenie chorych
z nerwiakowłókniakami splotowatymi w przebiegu
neurofibromatozy typu 1 (NF1) (ICD-10: Q85.0)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Koselugo (selumetinibum) 10 mg, kapsułki twarde, 60 sztuk, kod GTIN: 05000456070058;*
- *Koselugo (selumetinibum) 25 mg, kapsułki twarde, 60 sztuk, kod GTIN: 05000456070065,*

w ramach programu lekowego B.155. „Leczenie chorych z objawowymi, nieoperacyjnymi nerwiakowłókniakami splotowatymi (PN) w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1) (ICD-10: Q85.0)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Koselugo (selumetinibum) 10 mg i 25 mg, kapsułki twarde, 60 sztuk w ramach programu lekowego we wskazaniu „Leczenie chorych dorosłych z objawowymi, nieoperacyjnymi nerwiakowłókniakami splotowatymi (PN, plexiform neurofibromas) w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1, neurofibromatosis type 1) (ICD-10: Q85.0)”, bezpłatnie w grupie limitowej 1295.0, Selumetyrib.

Wniosek obejmuje instrument dzielenia ryzyka.

Selumetyrib jest selektywnym inhibitorem kinazy białkowej aktywowanej mitogenami 1 i 2 (MEK 1/2, ang. mitogen activated protein kinase kinases 1 and 2). Selumetyrib blokuje działanie MEK i hamuje wzrost linii komórkowych z aktywacją szlaku RAF-MEK-ERK. W związku z tym zahamowanie MEK może zablokować proliferację i przeżycie komórek nowotworowych z aktywacją szlaku RAF-MEK-ERK.

Data wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu: EMA: 19.09.2025, FDA: 19.11.2025.

Zarejestrowane wskazanie Koselugo obejmuje stosowanie w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych PN u pacjentów dorosłych oraz dzieci i młodzieży w wieku 3 lat i starszych z NF1.

Oceniana interwencja jest obecnie refundowana w populacji pacjentów pediatrycznych w wieku od ≥ 3 do ≤ 18 lat z potwierdzoną NF1, u których występują objawowe, nieoperacyjne PN w ramach programu lekowego B.155.

Wnioskodawca wnioskuje o rozszerzenie aktualnego programu lekowego B.155. o możliwość zastosowania SEL również u dorosłych pacjentów z NF1, u których występują objawowe, nieoperacyjne PN. Proponowany program lekowy wprowadza dodatkowe kryteria kwalifikacji m.in. objętość PN co najmniej 5 ml, którego nie można całkowicie usunąć chirurgicznie.

Neurofibromatoza typu 1, znana również jako nerwiakowłókniakowość lub choroba von Recklinghausena to wieloukładowa choroba genetyczna charakteryzująca się zwiększoną skłonnością do rozwoju guzów nerwów obwodowych oraz zmian skórnych i neurologicznych.

NF1 należy do rzadkich chorób uwarunkowanych genetycznie. Choroba dziedziczona jest autosomalnie dominująco, a odpowiadają mutacje genu NF1, kodującego białko neurofibrominy. Przebieg NF1 jest zróżnicowany i często nieprzewidywalny. Choroba ma charakter postępujący i wiąże się z podwyższonym ryzykiem nowotworów złośliwych.

U około 60% pacjentów chorych na NF1 występują nerwiakowłókniki splotowate. Rozwijają się one wzdłuż korzeni nerwów rdzeniowych lub większych splotów nerwowych. W zależności od postaci mogą przyjmować formę zlokalizowanego guza albo rozlanej, naciekającej zmiany obejmującej tkanki miękkie, mięśnie, powięzie, kości czy narządy wewnętrzne. Objawowe PN występują u 52% dorosłych pacjentów z NF1, nieoperacyjne PN NF1 – u 32%.

Rozpoznanie NF1 najczęściej odbywa się w wieku dziecięcym – manifestacja objawów niemal zawsze odbywa się do 10 r.ż.

Rokowanie w NF1 jest bardzo zróżnicowane i zależy od dynamiki rozwijających się powikłań. Osoby z NF1 żyją przeciętnie o 8–20 lat krócej w stosunku do populacji zdrowej.

Epidemiologia

W populacji dorosłych występowanie NF1 wynosi ok 0,016% do 0,027%.

Obecnie w Polsce jest 150 dorosłych pacjentów z objawowymi, nieoperacyjnymi nerwiakowłókniakami splotowatymi, w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1) z czego odsetek osób, u których lek Koselugo byłby stosowany po objęciu jej refundacją szacuje się na 50%.

Według danych z Centrum eZdrowia (CEZ) liczba chorych z rozpoznaniem ICD-10: Q85.0 (neurofibromatoza typu 1) w okresie 2015-2025 wzrosła z 2 114 do 3 924. W 2025 roku liczebność populacji pacjentów dorosłych wynosiła 1600.

U pacjentów otrzymujących BSC możliwe jest utrzymywanie się stabilizacji choroby, przy czym należy uwzględnić, że brak możliwości resekcji zmian może wynikać zarówno z wielkości guza lub niekorzystnej lokalizacji anatomicznej. Sytuację pacjentów mogłaby poprawić refundacja nowych leków w tym selumetynibu.

Wnioskodawca jako komparator dla ocenianej interwencji wskazał BSC w ramach którego stosuje się strategię obserwacji typu „watch and wait”.

Jednakże, opublikowana w czerwcu 2026 r. lista technologii o wysokim poziomie innowacyjności obejmuje mirdametynib (selektywny inhibitor kinazy MEK1/2, który blokuje szlak sygnałowy MAPK, nierefundowany) – w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych u dorosłych pacjentów i dzieci z neurofibromatozą typu 1 (NF1). Mirdametynib do dnia opublikowania niniejszego raportu nie został objęty refundacją. Jednakże, biorąc pod uwagę kryteria włączenia do projektu programu lekowego B.155., wytyczne praktyki klinicznej oraz wskazanie refundacyjne dla mirdametynibu, należy uznać, że lek ten stanowi potencjalny komparator w ocenianym wskazaniu.

Dowody naukowe

Do przeglądu systematycznego wnioskodawcy włączono: jedno podwójnie zaślepione badanie RCT fazy III (KOMET NCT04924608; Chen 2025) oraz dwa badania jednoramienne II fazy – Gross 2025 (NCT02407405), Kim 2024 (KCT0003700). Odnaleziono cztery przeglądy systematyczne: Sanikommu 2026, Souza 2022, Sharawat 2022 oraz Solares 2021. Należy jednak podkreślić, że wnioski z trzech przeglądów systematycznych Souza 2022, Sharawat 2022 oraz Solares 2021 opierały się na danych pochodzących z badań jednoramiennych, w tym na wstępnych wynikach badania II fazy NCT02407405 (w oparciu o abstrakty konferencyjne: Copen 2019, O’Sullivan 2020). Nie odnaleziono badań obserwacyjnych dotyczących efektywności praktycznej SEL stosowanego w populacji dorosłych pacjentów z PN w przebiegu NF1. W ramach dodatkowej oceny efektywności praktycznej przedstawiono cztery publikacje (Idrissova 2026, Miele 2025, Yuen 2025, Hartung 2024) stanowiące opisy pojedynczych lub serii przypadków (case report/case series), oceniające efektywność praktyczną SEL w leczeniu dorosłych pacjentów z PN w przebiegu NF1.

SEL vs PLC

Odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie do ukończenia 16. cyklu był istotnie wyższy w ramieniu SEL (20%) niż w ramieniu PLC (5%). Różnica ORR pomiędzy SEL a PLC wyniosła 14,3% i była IS na korzyść pacjentów leczonych

ocenianą interwencją ($p=0,0112$). Wykazano IS różnicę na korzyść SEL względem PLC w zakresie potwierdzonej częściowej odpowiedzi na leczenie [$OR=4,30$ ($1,34; 13,78$); $p=0,014$] w 16 cyklu leczenia. Stabilizację choroby odnotowano u istotnie mniejszego odsetka pacjentów z grupy SEL (70%) w porównaniu do grupy kontrolnej PLC (85%) [$OR=0,42$ ($0, 18; 0,94$); $p=0,036$]. W obu ramionach badania do ukończenia 16. cyklu leczenia nie wystąpiła potwierdzona odpowiedź całkowita na leczenie.

W ramieniu SEL mediana czasu do wystąpienia TTR wyniosła 3,73 miesiąca. Natomiast mediana DOR nie została osiągnięta zarówno dla analizy pierwotnej jak i dla analizy końcowej. Wyniki analizy końcowej przedstawione w raporcie EMA 2025 wskazują, że efekt trwałej odpowiedzi utrzymywał się w czasie u wszystkich pacjentów, u których wystąpiła obiektywna odpowiedź na leczenie (100%; $n=14$) odpowiedź utrzymywała się przez ≥ 6 miesięcy, a u 64,3% przez ≥ 12 miesięcy.

Odnotowano istotnie większą redukcję objętości docelowego PN przy najlepszej procentowej zmianie względem wartości wyjściowej w ramieniu SEL ($-15,3\%$) względem PLC ($-4,2\%$) w 12. cyklu leczenia. Stwierdzono IS różnicę na korzyść SEL względem PLC w zakresie średniej zmiany LSM względem wartości wyjściowej [$MD=-11,1\%$ (95% CI: $-15,5; -6,8$) ($p<0,001$)].

Wykazano IS różnice pomiędzy ramionami badania dla randomizowanego okresu leczenia (cykl 12) w zakresie większości analizowanych punktów końcowych raportowanych przez pacjentów dotyczących oceny nasilenia bólu (PAINS-pNF oraz PI-pN). Nie uzyskano klinicznie istotnej odpowiedzi wg PAINS-pNF do ukończenia 12 cyklu. W raporcie EMA 2025 przedstawiono dane wskazujące, że podczas randomizowanego okresu leczenia czas do wystąpienia ulgi w zakresie przewlekłego bólu docelowego PN nie różnił się istotnie między ramionami badania.

Nie odnotowano IS różnic między ramionami badania w zakresie punktów końcowych odnoszących się do jakości życia, w ramieniu SEL odnotowano istotną redukcję stosowanych leków przeciwbólowych.

W badaniach jednoramiennych II fazy zaobserwowano uzyskanie częściowych odpowiedzi na leczenie, redukcję objętości guza oraz brak progresji choroby w okresie obserwacji (Gross 2025; Kim 2024). Większość pacjentów wykazała poprawę siły mięśniowej (62%) i zwiększenie zakresu ruchu (71%). U pacjentów, którzy ukończyli 26 cykli leczenia, stwierdzono IS poprawę wyników w zakresie rozumienia werbalnego, rozumowania percepcyjnego, szybkości przetwarzania informacji oraz ogólnych zdolności poznawczych w porównaniu z wartościami wyjściowymi (Kim 2024).

Synteza wyników opiera się przede wszystkim na jednym trwającym badaniu RCT III fazy KOMET, a dodatkowe dane pochodzą z badań jednoramiennych

II fazy o niższej wiarygodności metodologicznej. Brak badań obserwacyjnych (prospektywnych lub retrospektywnych IV fazy) z zakresu efektywności praktycznej (RWD, ang. real world data) dla SEL we wnioskowanej populacji pacjentów. Heterogeniczność badanej populacji pod względem m.in. demograficznym (wiek, płeć, rasa), objętości docelowego guza, częstości występowania niedocelowych guzów oraz stopnia deformacji związanej z guzem. Wśród osób stosujących SEL odnotowano istotnie wyższą względem osób leczonych PLC częstość występowania AES: Kardiotoxyczność: 27% vs. 4%; [OR=8,65 (95% CI: 2,43; 30,77); $p<0,001$]; Obrzęk obwodowy: 16% vs. 1%; [OR=13,38 (95% CI: 1,68; 106,64); $p=0,014$]; Hepatotoksyczność: 20% vs. 7%; [OR = 3,39 (95% CI: 1,15; 9,98); $p=0,027$]; Zwiększenie aktywności AST: 18% vs. 5%; [OR=3,92 (95% CI: 1,21; 12,68); $p=0,022$]; Miotoksyczność: 49% vs. 11%; [OR =8,02 (95% CI: 3,36; 19,12); $p<0,001$]; Podwyższony poziom CPK we krwi: 45% vs. 5%; [OR =14,36 (95% CI: 4,73; 43,60); $p<0,001$].

Odnotowano w ramieniu SEL istotnie wyższą względem PLC częstość występowania zdarzeń niepożądanych tj. zaburzeń żołądkowo-jelitowych (75% vs. 43%; $p<0,001$),

Odsetek obiektywnych odpowiedzi na leczenie do ukończenia 16. cyklu był istotnie wyższy w ramieniu SEL (20%) niż w ramieniu PLC (5%). Różnica ORR pomiędzy SEL a PLC wyniosła 14,3% (95% CI: 3,8; 25,8) i była IS na korzyść pacjentów leczonych ocenianą interwencją ($p=0,0112$).

Wytyczne kliniczne

Polskie wytyczne (opublikowane przed datą rejestracji produktu leczniczego Koselugo) wskazują, że jedyną metodą pozwalającą na trwałe wyleczenie nowotworu osłonek nerwów obwodowych (MPNST, ang. malignant peripheral nerve sheath tumor,) rozwijającego się w przebiegu NF1 pozostaje leczenie chirurgiczne. Standardem postępowania okołooperacyjnego jest konwencjonalnie frakcjonowana radioterapia.

Europejskie wytyczne wskazują, że postępowanie terapeutyczne w przypadku nerwiakowłókniaków splotowatych w NF1 opiera się przede wszystkim na leczeniu chirurgicznym (EURACAN 2023, ERN GENTURIS 2023), które stanowi jedyną metodę mogącą doprowadzić do całkowitego usunięcia guza. U dorosłych pacjentów z guzami objawowymi lub nieresekcyjnymi dopuszcza się rozważenie zastosowania terapii inhibitorami MEK (EURACAN 2023, ERN GENTURIS 2023) w tym selumetynibem, a także innymi terapiami systemowymi tj. binimetynib, trametinib, mirdametynib oraz kabozantynib (EURACAN 2023).

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy stosowanie SEL w porównaniu z BSC jest [redacted]. Oszacowany ICUR z perspektywy NFZ w wariacie z RSS wyniósł [redacted] PLN/QALY.

Cena progowa leku Koselugo oszacowana przez wnioskodawcę wynosi [REDACTED] za opakowanie 10 mg x 60 kaps. oraz [REDACTED] za opakowanie 25 mg x 60 kaps.

[REDACTED] Zgodnie z przeprowadzoną przez wnioskodawcę analizą probabilistyczną prawdopodobieństwo osiągnięcia efektywności kosztowej przez wnioskowaną technologię względem BSC wyniosło [REDACTED]

Wśród kluczowych ograniczeń analizy należy wskazać: odniesienie ograniczeń AKL na wyniki AE (w tym wpływ lokalizacji zmian na jakość życia pacjentów, brak danych dotyczących długoterminowej skuteczności SEL), brak uwzględnienia spadku użyteczności związanego z wystąpieniem AEs oraz odpowiedzi na leczenie w ramieniu BSC, przyjęcie jednakowego ryzyka zgonu zarówno w ramieniu SEL, jak i BSC, maksymalny czas leczenia uwzględniony w modelu wynosi 5 lat, długość horyzontu czasowego analizy nie jest dostosowana do oczekiwanej długości życia pacjentów z neurofibromatozą typu 1.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego tj. z perspektywy Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej (NFZ + pacjenci) dla dwuletniego horyzontu czasowego. Oszacowano, że do terapii SEL zakwalifikuje się [REDACTED] pacjentów w pierwszym roku oraz [REDACTED] pacjentów w drugim roku analizowanego horyzontu czasowego.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Koselugo w wariancie podstawowym spowoduje [REDACTED] w I roku [REDACTED] w II roku refundacji w wariancie z RSS.

Ograniczeniem BIA wnioskodawcy jest niepewność związana z oszacowaniem wielkości populacji w warunkach polskich oraz kształtowania się udziałów w rynku wnioskowanej technologii.

Interwencję stanowi produkt leczniczy Koselugo (podawany doustnie w dawce 25 mg/m² powierzchni ciała (BSA), dwa razy na dobę), natomiast komparatorem dla rozważanej interwencji jest stosowanie najlepszego leczenia wspomagającego (BSC), rozumianego jako obserwacja pacjentów oraz leczenie objawowe, w tym przede wszystkim farmakoterapia przeciwbólowa.

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Koselugo w wariantie podstawowym spowoduje [REDACTED] w I roku i o ok. [REDACTED] w II roku refundacji w wariantie z RSS.

Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym: I rok [REDACTED] II rok [REDACTED]

W przypadku minimalnej rocznej liczby pacjentów z populacji docelowej wydatki inkrementalne w wariantie z RSS oszacowano na ok. [REDACTED] w I roku i ok. [REDACTED] w II roku analizy.

Natomiast w przypadku przyjęcia maksymalnej rocznej liczby pacjentów z populacji docelowej wydatki inkrementalne w wariantie z RSS oszacowano na ok. [REDACTED] w I roku i ok. [REDACTED] w II roku analizy.

Rekomendacje refundacyjne

Istnieją trzy dokumenty dotyczących ocen i/lub rekomendacji refundacyjnych SEL w leczeniu PN u chorych na NF1: jedną rekomendację pozytywną (G-BA 2026), jedną rekomendację negatywną (CDA-AMC 2023) oraz jedną informację o zawieszeniu procesu wydawania rekomendacji (NICE 2025). W Kanadzie wydano negatywne rekomendacje refundacyjne, wskazując jako powód decyzji niepewność co do rzeczywistej korzyści terapeutycznej leku Koselugo w porównaniu z terapiami stosowanymi w praktyce klinicznej (CDA-AMC 2026). Proces wydawania rekomendacji refundacyjnej przez NICE został zawieszony ze względu na nie przedłożenie dokumentacji dowodowej przez wnioskodawcę.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę lek Koselugo jest finansowany dla wnioskowanej populacji w kilku krajach.

Główne argumenty decyzji:

- Dane naukowe niskiej jakości.
- Tylko jedna rekomendacja refundacyjna.
- Bardzo duże obciążenie płatnika.
- Brak efektywności kosztowej.
- Niepewna rzeczywista korzyść kliniczna.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: DOWM.4131.9.2026 Wniosek o objęcie refundacją leku Koselugo (selumetinibum) w ramach programu lekowego: B.155 „Leczenie chorych z nerwiakowłókniakami splotowatymi w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1) (ICD-10: Q85.0)”; data ukończenia: 24.09.2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.
2. Opinia przedstawiciela pacjentów przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (AstraZeneca AB).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem AstraZeneca AB 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).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: AstraZeneca AB.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 149/2026 z dnia 12 października 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Xiaflex
(collagenasum clostridium histolyticum) we wskazaniu:
choroba Peyroniego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Xiaflex (collagenasum clostridium histolyticum), proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań we wskazaniu: choroba Peyroniego po nieskutecznym leczeniu zabiegami ESWT, niesterydowymi lekami przeciwzapalnymi, tadalafil, interferonem alfa, witaminą E i terapią trakcyjną bez możliwości leczenia chirurgicznego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności refundacji, w ramach importu docelowego, produktu leczniczego we wskazaniu: choroba Peyroniego po nieskutecznym leczeniu zabiegami ESWT, niesterydowymi lekami przeciwzapalnymi, tadalafil, interferonem alfa, witaminą E i terapią trakcyjną bez możliwości leczenia chirurgicznego. Wniosek procedowany jest dla pojedynczego pacjenta. Produkt leczniczy Xiaflex jest niedostępny w Polsce, nie jest aktualnie zarejestrowany przez EMA, natomiast posiada on rejestrację FDA.

Dla produktu leczniczego Xiaflex wydano zgodę na refundację w ramach importu docelowego w 2023 r. (REK nr: 16/2023 z dnia 27.03.2023 r.), natomiast w roku 2020 zgody na refundację nie wydano (REK nr: 85/2020 z dnia 30.12.2020 r.). Powyższe oceny dotyczyły zastosowania preparatu Xiaflex w terapii Choroby Peyroniego, jednak szczegółowy opis populacji docelowej był inny niż w przedmiotowym zleceniu. W latach 2024-2025 nie wydano żadnej zgody na refundację produktu Xiaflex.

Choroba Peyroniego (PD, ang. Peyronie's disease) zgodnie z definicją Amerykańskiego Towarzystwa Urologicznego (AUA, ang. American Urological Association) charakteryzuje się zwłóknieniem błony białawej prącia, któremu mogą towarzyszyć ból, deformacje i zaburzenia erekcji. Dane europejskie wskazują, że występowanie PD określa się na 0,4-20,3% mężczyzn w populacji ogólnej i częściej dotyczy osób z zaburzeniami erekcji oraz diabetyków.

Nie odnaleziono danych epidemiologicznych dla populacji Polski. Charakterystyczny wiek pacjentów z PD to 50-60 lat.

Do najczęściej stosowanych terapii zachowawczych należą: farmakoterapie doustne, iniekcje doogniskowe, terapia falą uderzeniową (SWT, ang. shock wave therapy) oraz leczenie miejscowe. Niewielki procent mężczyzn doświadcza znaczącego wyprostowania prącia po leczeniu zachowawczym. W takich przypadkach stosuje się leczenie operacyjne.

Objawy choroby Peyroniego są spowodowane płytką kolagenową. Lek Xiaflex składa się z mieszaniny kolagenaz bakterii *Clostridium*, których wstrzyknięcie może prowadzić do rozerwania enzymatycznego płytki i zmniejszenia skrzywienia prącia.

Dowody naukowe

Obecnie odnaleziono dwa przeglądy systematyczne (Lee 2024, Hayat 2022), które oceniały skuteczność niechirurgicznych metod leczenia PD, ze szczególnym uwzględnieniem terapii śródmianowej kolagenazą *Clostridium histolyticum* (CCH). Analizowane dane wskazują, że CCH pozostaje najlepiej przebadaną i udokumentowaną metodą zachowawczego leczenia PD. Najbardziej wiarygodne dowody dotyczą redukcji skrzywienia prącia u pacjentów ze stabilną postacią choroby, natomiast wpływ terapii na wielkość blaszki włóknistej, ból oraz funkcję erekcyjną pozostaje mniej jednoznaczny. Wyniki obu przeglądów sugerują, że CCH stanowi najbardziej obiecującą z dostępnych metod niechirurgicznych, jednak pozostaje potrzeba prowadzenia dalszych wysokiej jakości badań pozwalających na dokładniejszą ocenę efektu terapeutycznego i identyfikację populacji odnoszących największe korzyści z leczenia. Dane z ww. przeglądów są zgodne z wynikami badań opisanych w poprzednich raportach Agencji.

Aktualnie odnaleziono trzy wytyczne kliniczne: EUA 2025 i ICSM 2024 oraz przegląd systematyczny wytycznych Chierigo 2026. We wszystkich trzech dokumentach CCH jest uznawana za doogniskową metodę leczenia PD o najlepiej udokumentowanej skuteczności. Najbardziej odpowiednimi kandydatami są pacjenci ze stabilną chorobą, zachowaną funkcją erekcyjną, krzywizną przekraczającą 30°, zwłaszcza w zakresie 30–60° oraz blaszkami bez istotnych zwapnień, którzy preferują leczenie niechirurgiczne. Wyniki badań wskazują na umiarkowane, ale istotne zmniejszenie krzywizny prącia; w badaniach IMPRESS średnia poprawa wynosiła 34% wobec 18,2% w grupie placebo. Leczenie wymaga odpowiedniego doboru pacjentów, poinformowania ich o ograniczonej skuteczności oraz o ryzyku miejscowych działań niepożądanych, w tym krwiaka, bólu, obrzęku i rzadkiego pęknięcia osłonki białawej. Najważniejszym ograniczeniem jest brak dostępności produktu w Unii Europejskiej oraz jego wysoki koszt.

Problem ekonomiczny

Cena produktu leczniczego Xiaflex wskazana w zleceniu wynosi 33 930,40 zł. Zalecane dawkowanie produktu Xiaflex obejmuje podanie 4. cykli leczenia, każdy cykl składa się z 2. podań preparatu (łącznie: podanie 8 fiolek). Prognozowane wydatki na finansowanie całkowitej terapii preparatem Xiaflex wynoszą w ramach importu docelowego dla 1 pacjenta: 271 443,16 zł.

Główne argumenty decyzji:

- *Niskiej jakości dowody naukowe.*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*
- *Wycofanie produktu z obrotu, z wyjątkiem Stanów Zjednoczonych.*

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: OTAD.414.5.2026 „Xiaflex we wskazaniu: choroba Peyroniego po nieskutecznym leczeniu zabiegami ESWT, niesterydowymi lekami przeciwzapalnymi, tadalafil, interferonem alfa, witaminą E i terapią trakcyjną bez możliwości leczenia chirurgicznego”; data ukończenia: 8 października 2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 150/2026 z dnia 12 października 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Basecal 200
w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Basecal 200, proszek we wskazaniach:

- *acyduria metylomalonowa,*
- *acyduria izowalerianowa,*
- *acyduria propionowa,*
- *acyduria glutarowa,*
- *deficyt beta – ketotiolazy,*
- *choroba syropu klonowego.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stanowisko dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) Basecal 200 (proszek) we wskazaniach acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, deficyt beta – ketotiolazy, choroba syropu klonowego. Nie odnaleziono informacji dotyczących dopuszczenia śsspż do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Basecal 200 nie był dotychczas przedmiotem oceny Agencji.

Ze względu na rolę Basecal 200, polegającą przede wszystkim na uzupełnianiu podaży energii i składników odżywczych bez zwiększania podaży białka naturalnego, za technologie alternatywne można uznać inne formuły bezbiałkowe (środki spożywcze specjalnego przeznaczenia medycznego), sprowadzane w ramach importu docelowego).

Oceniane wskazania dotyczą grupy rzadkich chorób metabolicznych. Acyduria metylomalonowa (MMA) jest wywołana niedoborem/defektem enzymu mutazy metylomalonylo-CoA lub jego kofaktora: witaminy B12. W obrazie klinicznym dominuje ciężka postać kwasicy. W leczeniu stosuje się dietę z ograniczeniem

aminokwasów: izoleucyny, metioniny, treoniny i waliny. W postaciach kobalaminozależnych choroby suplementacja witaminą B12. Rokowania są ogólnie niekorzystne pomimo terapii dietą niskobiałkową i karnityną, z wyjątkiem form MMA reagujących na witaminę B12 (głównie MMA cblA, cblB), które, jeśli zostaną szybko zdiagnozowane i leczone w odpowiednim czasie mają lepsze rokowania. Acyduria izowalerianowa (IVA) jest rzadką chorobą metaboliczną dziedziczną w sposób autosomalny recesywny, zaliczaną do grupy kwasów organicznych. Obraz kliniczny choroby jest heterogenny i obejmuje zarówno ciężką postać noworodkową przebiegającą z ostrą dekompensacją metaboliczną, jak i później ujawniające się, nieswoiste objawy, w tym zaburzenia wzrastania oraz opóźnienie rozwoju psychoruchowego. Niezależnie od fenotypu klinicznego wszyscy pacjenci są narażeni na wystąpienie okresowych epizodów ostrej dekompensacji metabolicznej. Leczenie IVA wymaga stosowania diety niskobiałkowej przez całe życie. W niektórych przypadkach konieczna jest suplementacja preparatami aminokwasowymi o ograniczonej zawartości leucyny. W celu usuwania nadmiaru kwasu izowalerianowego mogą być stosowane L-karnityna oraz glicyna. Rokowanie u pacjentów, u których rozpoznanie ustalono w ramach badań przesiewowych noworodków, jest bardzo dobre. Przy odpowiednim postępowaniu metabolicznym możliwe jest osiągnięcie prawidłowego rozwoju neurologicznego. Natomiast u pacjentów, u których choroba ujawniła się objawowo, mogą wystąpić istotne następstwa neurologiczne, w tym opóźnienie rozwoju neurorozwojowego, szczególnie w przypadkach ciężkiej kwasicy metabolicznej i hiperamonemii. Acyduria propionowa (PA) to organiczna kwasica spowodowana przez niedobór karboksylazy propionylo-CoA zależnej od biotyny. Choroba charakteryzuje się zagrażającymi życiu epizodami dekompensacji metabolicznej, zaburzeniami neurologicznymi oraz powikłaniem w postaci kardiomiopatii. W leczeniu stosuje się dietę z ograniczeniem prekursorów kwasu propionowego, tj. izoleucyny, metioniny, treoniny i waliny. Wczesne wykrycie i leczenie prowadzą do spadku śmiertelności w pierwszym roku życia i zwiększa przeżycie we wczesnym dzieciństwie. Dzięki zastosowaniu leczenia można uniknąć ostrych przełomów z hiperamonemią, co zmniejsza ryzyko zgonu oraz wystąpienia upośledzenia umysłowego i niedowładów (zespołu pozapiramidowego). Acyduria glutarowa typu I (GA-I) spowodowana jest niedoborem dehydrogenazy glutarylo-CoA. Defekt metaboliczny prowadzi do gromadzenia się toksycznych metabolitów, przede wszystkim kwasu glutarowego i 3-hydroksyglutarowego, które wywierają szkodliwy wpływ na ośrodkowy układ nerwowy. Leczenie polega na stosowaniu diety ubogiej w lizynę oraz suplementację L-karnityną, a także szybkie wdrażanie leczenia doraźnego w przypadku chorób współistniejących. Rokowanie zależy od wczesnego rozpoznania choroby oraz konsekwentnego prowadzenia leczenia i postępowania terapeutycznego. Niedobór dehydrogenazy glutarylo-CoA jest

obecnie uznawany za chorobę neurometaboliczną poddającą się skutecznemu leczeniu.

Deficyt beta – ketotiolazy (BKTD) charakteryzuje się nawracającymi epizodami kwasicy ketonowej, którym towarzyszą wymioty, duszność, zaburzenia oddychania, hipotonia, letarg oraz śpiączka. Długoterminowe postępowanie terapeutyczne obejmuje unikanie głodzenia (a także dożylne podawanie glukozy w przypadku gorączki lub wymiotów) oraz u dzieci, umiarkowane ograniczenie podaży białka do 1,5-2,0 g/kg masy ciała na dobę. Zaleca się również unikanie diety bogatotłuszczowej (ketogennej) oraz stosowanie L-karnityny u pacjentów z jej niedoborem. Rokowanie jest zazwyczaj dobre, pod warunkiem wczesnego rozpoznania choroby i właściwego leczenia, umożliwiającego zapobieganie epizodom kwasicy ketonowej. Choroba syropu klonowego (MSUD) charakteryzuje się występowaniem wkrótce po urodzeniu zaburzeń karmienia, letargu, wymiotów oraz charakterystycznego zapachu syropu klonowego wyczuwalnego w włosowinie usznej (a później również w moczu). W przypadku braku leczenia choroba prowadzi do postępującej encefalopatii oraz ośrodkowej niewydolności oddechowej. Wyróżnia się cztery częściowo nakładające się fenotypy kliniczne choroby: klasyczny, pośredni, okresowy (intermittent) oraz tiaminozależny. W postaci klasycznej i pośredniej po stabilizacji stanu klinicznego niemowlęta wymagają stosowania wysokokalorycznych preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (BCAA), ograniczenia podaży leucyny w diecie oraz ścisłego monitorowania w poradni chorób metabolicznych. Pacjenci muszą przestrzegać restrykcyjnej diety przez całe życie, a w okresie ciąży wymagają szczególnie uważnego nadzoru metabolicznego. Skuteczną metodą leczenia może być również ortotopowy przeszczep wątroby.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych. W badaniu prospektywnym Daly 2017 (ocena długofalowych efektów stosowania Basecal 200 u pacjentów powyżej 1 roku życia karmionych za pomocą sondy z rozpoznanymi acyduriami organicznymi) wykazano, że zastosowanie gotowej mieszanki bez białka w połączeniu ze źródłami białka (białkiem naturalnym oraz wolnymi od prekursorów aminokwasami L-AA) poprawiło podaż składników odżywczych i uprościło schematy żywienia. Odnotowano znaczną poprawę w zakresie spożycia niezbędnych kwasów tłuszczowych, witamin i minerałów (wapnia, żelaza, cynku, selenu, fosforu, witaminy B12, potasu, magnezu, sodu oraz kwasu dokozaheksaenowego i arachidonowego), co przełożyło się na poprawę biochemicznych wskaźników stanu odżywienia w odniesieniu do poziomu cynku, selenu i hemoglobiny w osoczu oraz wartości MCV. Spożycie magnezu, potasu i sodu nadal kształtowało się poniżej wartości referencyjnych.

W badaniu retrospektywnym Pretese 2024 (celem było opisanie leczenia dietetycznego u pacjentów z chorobą syropu klonowego oraz analiza możliwego wpływu diety niskobiałkowej i półsyntetycznej na skład ciała), wykazano, że skład ciała pacjentów pod względem zawartości tkanki tłuszczowej i beztłuszczowej masy ciała jest zbliżony do składu ciała osób zdrowych. Wskazano na częste występowanie osteopenii oraz wyraźną skłonność do rozwoju osteopenii już w młodym wieku. Uzasadnia to podjęcie dalszych badań w celu zidentyfikowania potencjalnych czynników ryzyka. Stwierdzono dodatnią korelację między spożyciem białka a beztłuszczową masą ciała oraz ujemną korelację między spożyciem mieszanki aminokwasowej bez aminokwasów rozgałęzionych a wskaźnikiem Z-score gęstości mineralnej kości.

W opisie przypadku kobiety w ciąży cierpiącej na acydurię metylomalonową, otrzymującą preparat bezbiałkowy (Kowalik 2021) wykazano brak klinicznych i biochemicznych objawów dekompensacji metabolicznej, kobieta urodziła zdrowe dziecko. W okresie okołoporodowym również nie zareportowano dekompensacji metabolicznej.

Wytyczne kliniczne (14 dokumentów) są spójne w zakresie ogólnych celów postępowania dietetycznego w analizowanych wrodzonych wadach metabolizmu. W ramach zaleceń odnoszących się do terapii żywieniowej wskazywano, że kluczowym elementem postępowania jest ograniczenie spożycia białka naturalnego lub wybranych aminokwasów, których metabolizm prowadzi do kumulacji toksycznych metabolitów. W wytycznych opisywano zasadność stosowania diet o obniżonej zawartości białka, specjalistycznych mieszanek aminokwasowych, a także – zależnie od wskazania i sytuacji klinicznej – produktów niskobiałkowych lub niezawierających białka naturalnego bądź określonych aminokwasów. Jednocześnie konsekwentnie podkreślano potrzebę zapewnienia odpowiedniej podaży energii, w tym kalorii pochodzących ze źródeł pozabiałkowych, w celu ograniczenia katabolizmu, zmniejszenia ryzyka dekompensacji metabolicznej oraz utrzymania prawidłowego wzrastania i rozwoju pacjenta. Wspólnym elementem zaleceń jest również potrzeba indywidualizacji postępowania, stałego monitorowania biochemicznego i klinicznego oraz wdrażania planów awaryjnych w sytuacjach zwiększonego ryzyka dekompensacji metabolicznej, takich jak infekcje, głodzenie, zabiegi operacyjne lub inne stany stresu metabolicznego.

Problem ekonomiczny

Koszty przy założeniu zużycia (12 – 24 opakowań na pacjenta na rok) wskazuje, że sumaryczna roczna kwota refundacji w docelowej populacji (12 pacjentów) w zależności od ilości zużytych opakowań wyniesie od 87 491,34 PLN – 174 982,69 PLN rocznie.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna (brak jest refundowanej technologii alternatywnej).*
- *Postępowanie zgodne z rekomendacjami oraz praktyka kliniczną.*

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: OTOW.414.4.2026 „Basecal 200 we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, deficyt beta-ketotiolazy, choroba syropu klonowego”; data ukończenia: 8 października 2026 r.



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 137/2026 z dnia 12 października 2026 roku
o projekcie programu „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy
i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców
gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”**

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej w zakresie wykrywania jaskry, zaćmy oraz AMD w populacji osób w wieku 55 lat i więcej, u których występuje co najmniej jeden z czynników ryzyka rozwoju zaćmy, jaskry lub AMD. Program obejmie 100 uczestników, co stanowi ok. 1,5% populacji kwalifikującej się do udziału w programie. Projekt został zaplanowany do realizacji przez Gminę Konstancin-Jeziorna.

Planowane koszty całkowite na rok 2026 zostały oszacowane na 60 000 zł. Program ma być finansowany z budżetu Gminy Konstancin-Jeziorna. Monitorowanie i ewaluacja programu realizowane będą bezkosztowo, w ramach zadań własnych pracowników Urzędu Miasta i Gminy Konstancin-Jeziorna.

Oceniany projekt zawiera referencje bibliograficzne oraz wykaz piśmiennictwa, na podstawie którego opracowano jego treść. Odwołano się do Map Potrzeb Zdrowotnych (MPZ), przedstawiając dane z Bazy Analiz Systemowych i Wdrożeniowych (BASiW).

Głównym założeniem projektu programu jest „podniesienie lub utrzymanie w trakcie trwania programu wysokiego poziomu wiedzy w zakresie profilaktyki chorób narządu wzroku wśród co najmniej 70% uczestników programu”. Zaplanowano również przeprowadzenie pre- i post-testu, co jest działaniem zasadnym. Do projektu załączono przykładowy test który nie budzi zastrzeżeń.

W treści projektu wskazano również jeden cel szczegółowy: „zwiększenie o co najmniej 40% w okresie trwania programu odsetka uczestników, u których wykryto co najmniej jedną chorobę narządu wzroku, którzy zostali skierowani na dalszą diagnostykę i leczenie w ramach środków NFZ”.

W projekcie przedstawiono 2 mierniki efektywności, tj. (1) „odsetek uczestników programu, u których w post-teście utrzymano lub uzyskano wysoki poziom wiedzy (co najmniej 80% poprawnych odpowiedzi) w zakresie profilaktyki chorób narządu wzroku, względem wszystkich uczestników edukacji zdrowotnej, którzy wypełnili pre-test” oraz (2) „odsetek uczestników z nieprawidłowym wynikiem badań przesiewowych w kierunku co najmniej jednej z chorób narządu wzroku wykrywanych w programie, skierowanych na dalszą diagnostykę i leczenie, względem wszystkich uczestników, którzy przeszli badanie przesiewowe”. Miernik nr 1 odnosi się do celu głównego, natomiast miernik nr 2 do celu szczegółowego.

Kryteria włączenia i wyłączenia z udziału w programie podzielono w zależności od interwencji. W odniesieniu do działań informacyjno-edukacyjnych, jedynym kryterium włączenia ma być zamieszkiwanie na terenie gminy Konstancin-Jeziorna. W projekcie jednocześnie wskazano na „brak” kryteriów wyłączenia z udziału w tej interwencji. Wśród kryteriów włączenia do konsultacji okulistycznej wymieniono: zamieszkiwanie na terenie gminy Konstancin-Jeziorna, wiek 55 lat i więcej, wyrażenie pisemnej zgody na udział w programie, a także dodatni wywiad rodzinny w kierunku chorób narządu wzroku lub występowanie co najmniej jednego z czynników ryzyka rozwoju zaćmy, jaskry lub AMD ustalonego na podstawie wywiadu lekarskiego. W ramach kryteriów wyłączenia z udziału w konsultacji okulistycznej wskazano: pozostawanie pod opieką poradni okulistycznej oraz wykonywanie badań w kierunku wykrycia jaskry, zaćmy oraz AMD finansowanych ze środków publicznych w ciągu ostatnich 12 miesięcy.

W ramach programu zaplanowano działania profilaktyczne i wczesną diagnostykę chorób narządu wzroku tj.: przeprowadzenie działań informacyjno-edukacyjnych oraz konsultacji okulistycznej (obejmującej m.in. wywiad, edukację zdrowotną, badania przesiewowe w kierunku zaćmy, jaskry i AMD, a w uzasadnionych przypadkach – rozszerzone badania diagnostyczne w kierunku jaskry i AMD).

Zgodnie z treścią projektu, badania przesiewowe realizowane u wszystkich uczestników obejmować będą: badanie refrakcji (przy użyciu autorefraktometru), ocenę ostrości wzroku (bez korekcji i z korekcją, do dali oraz do bliży), tonometrię (pomiar ciśnienia wewnątrzgałkowego za pomocą tonometru; metodą bezkontaktową air puff lub kontaktową), test Amslera (wykonywany w korekcji do bliży, jako podstawowy test przesiewowy w kierunku AMD), biomikroskopię (ocenę przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej) oraz ocenę dna oka po mydriazie z użyciem soczewki Volka (w ramach oceny tarczy nerwu wzrokowego, plamki oraz obwodowych części siatkówki). W projekcie podkreślono, że na tym etapie zakończy się diagnostyka zaćmy oraz innych schorzeń przebiegających z nieprzeziernością ośrodków optycznych,

a uczestnicy z rozpoznaniem zaćmy zostaną skierowani do dalszej diagnostyki i leczenia w ramach świadczeń finansowanych przez NFZ. Zgodnie z treścią projektu, dodatkowe badania diagnostyczne zostaną wykonane u uczestników, u których w badaniach podstawowych stwierdzono nieprawidłowości wymagające pogłębionej diagnostyki, przy czym decyzję o wykonaniu dodatkowego badania diagnostycznego będzie podejmował lekarz okulista.

W ramach działań informacyjno-edukacyjnych oprócz akcji informacyjnej (mającej na celu przekazanie mieszkańcom informacji nt. podstawowych założeń PPZ) zaplanowano przeprowadzenie kampanii informacyjno-edukacyjnej oraz indywidualnej edukacji uczestników. Celem kampanii informacyjno-edukacyjnej będzie podniesienie świadomości populacji ogólnej nt. profilaktyki i wczesnej diagnostyki chorób narządu wzroku, w tym m.in.: etiologii i skutków zaćmy, jaskry i AMD, głównych czynników zwiększających ryzyko wystąpienia ww. schorzeń, objawów alarmowych poszczególnych chorób, korzyści wynikających z wczesnej diagnozy i leczenia chorób narządu wzroku, korzyści wynikających z wdrażania do codziennej praktyki działań profilaktycznych (tj. higiena wzroku w pracy przy komputerze, higiena snu, ćwiczenia oczu, aktywność fizyczna, zmiana diety, zaprzestanie palenia tytoniu, okresowe badania okulistyczne), a także dostępu do świadczeń gwarantowanych z zakresu okulistyki na terenie gminy i powiatu. Działania informacyjno-edukacyjne prowadzone będą przez personel medyczny udzielający świadczeń w ramach PPZ, do którego zadań należeć będzie m.in. przekazywanie pacjentom informacji na temat programu oraz korzyści płynących z udziału w nim. Wskazane działania mają być realizowane za pomocą metod podających (np. ulotek, plakatów, broszur informacyjno-edukacyjnych, ogłoszeń w social mediach, postów na stronie internetowej Urzędu Miasta i Gminy Konstancin-Jeziorna, realizatora, wybranych podmiotów leczniczych, publikacji w lokalnych mediach itp.). Wskazano również na możliwość wykorzystania materiałów edukacyjnych przygotowanych przez instytucje zajmujące się profilaktyką i promocją zdrowia (np. Ministerstwo Zdrowia, NFZ, Narodowe Centrum Edukacji Żywnościowej, Instytut Zdrowia Publicznego Państwowy Zakład Higieny). W ramach działań informacyjno-edukacyjnych przeprowadzona zostanie również indywidualna edukacja zdrowotna uczestników w ramach konsultacji okulistycznej. W opisie konsultacji okulistycznej wskazano, że edukacja ta dotyczyć będzie profilaktyki chorób narządu wzroku i uwzględniać będzie pomiar wiedzy uczestników na podstawie przygotowanego przez realizatora pre- i post testu. Wnioskodawca wskazał również, że uczestnikom przekazane zostaną materiały edukacyjne w formie ulotki/broszury dotyczącej profilaktyki chorób narządu wzroku.

Zgodnie z treścią projektu, ocena zgłaszalności do programu przeprowadzona zostanie na podstawie następujących wskaźników: „liczba osób, które zgłosiły się do udziału w programie i wzięły udział w konsultacji okulistycznej”, „liczba

osób, które zostały poddane indywidualnej edukacji zdrowotnej”, „liczba osób, u których wykonano badania przesiewowe w chorób narządu wzroku”, „liczba osób, u których wykonano badania rozszerzone (OCT RNFL i/lub OCT plamki) wg wskazań klinicznych” oraz „liczba osób, które zrezygnowały w udziału w programie - ze wskazaniem przyczyny”. W zakresie oceny jakości świadczeń zaplanowano przeprowadzenie ankiety satysfakcji oraz analizę pisemnych uwag przekazywanych do realizatora. Do projektu załączono wzór ww. ankiety (załącznik 3 do projektu), który nie budzi zastrzeżeń. W projekcie wskazano również, że zalecane będzie bieżące uzupełnianie informacji o każdym z uczestników PPZ w formie elektronicznej bazy danych (np. w arkuszu kalkulacyjnym). Zbierane dane obejmować będą: datę wyrażenia zgody na uczestnictwo w PPZ, w tym zgody na przetwarzanie danych osobowych oraz zgody na kontakt (np. numer telefonu, adres e-mail), informacje o świadczeniach, z których skorzystał uczestnik, datę zakończenia udziału w PPZ wraz z podaniem przyczyny. Ocenie poddana zostanie również efektywność programu.

W projekcie wskazano, że realizator programu wybrany zostanie w drodze konkursu ofert, co jest zgodne z zapisami ustawowymi.

Uwagi Rady

- Projekt zawiera rozbieżne informacje dotyczące okresu realizacji PPZ (w tytule programu, jak i na str. 2 projektu wskazano, że będzie on realizowany w 2026 r., natomiast w opisie etapów PPZ i działań podejmowanych w ramach tych etapów realizację zaplanowano na okres od IV kwartału 2026 do I kwartału 2027).
- Niejasny sposób oszacowania liczebności populacji kwalifikującej się do udziału w programie.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.2026 „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026” realizowany przez: Gminę Konstancin-Jeziorna; data ukończenia: październik 2026 r. oraz Aneksu „Programy profilaktyki i wczesnego wykrywania jaskry – wspólne podstawy oceny” z września 2021 r. i Raportu nr: DPPZ.451.1.2026 dot. projektu PPZ pn. „Profilaktyka w zakresie diagnostyki zaćmy i jaskry oraz AMD - zwyrodnienia plamki żółtej dla mieszkańców gminy Konstancin-Jeziorna na rok 2026” z lutego 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 138/2026 z dnia 12 października 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
wczesnej diagnostyki endometriozy oraz edukacji zdrowotnej
dla mieszanek Ostrowa Wielkopolskiego”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnej diagnostyki endometriozy oraz edukacji zdrowotnej dla mieszanek Ostrowa Wielkopolskiego”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej (PPZ) zaplanowany przez Gminę Miasto Ostrów Wielkopolski. Populację docelową PPZ stanowią mieszanek Ostrowa Wielkopolskiego w wieku 18-49 lat z objawami sugerującymi endometriozę lub zmagające się z niepłodnością, u których zachodzi podejrzenie endometriozy. Celem głównym projektu jest zwiększenie o co najmniej 5% w okresie trwania całego programu, odsetka kobiet, u których w ramach działań diagnostycznych stwierdzono występowanie endometriozy i które zostały skierowane na leczenie w ramach środków NFZ (POZ lub AOS). W projekcie programu zaplanowano działania szkoleniowe dla personelu medycznego, konsultację kwalifikującą do programu, diagnostykę endometriozy oraz warsztaty edukacyjne. Program ma być realizowany w latach 2026-2028. Planowane koszty całkowite określono na 359 000 zł. Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Miasto Ostrów Wielkopolski.

Endometrioza jest to przewlekła choroba dotycząca kobiet głównie w wieku rozrodczym, powodująca ból, niepłodność oraz istotne pogorszenie jakości życia. Wnioskodawca przedstawił informacje na temat charakterystyki choroby oraz lokalizacji zmian, a także typowe objawy kliniczne, mechanizmy patogenezy, w tym rolę czynników genetycznych, epigenetycznych i środowiskowych, a także czynniki zwiększające ryzyko wystąpienia choroby oraz trudności w diagnostyce, podkreślając znaczenie wywiadu, badań obrazowych oraz laparoskopii. Wskazano także na rekomendowane metody leczenia, obejmujące przede wszystkim farmakoterapię oraz w wybranych przypadkach leczenie chirurgiczne, z uwzględnieniem konieczności opieki w ośrodkach wyspecjalizowanych. Podkreślono rolę wczesnego wykrywania choroby w zapobieganiu powikłaniom,

takim jak przewlekły ból miednicy, zaburzenia płodności oraz zwiększone ryzyko niektórych nowotworów.

W projekcie wskazano, że zgodnie z danymi WHO endometrioza może dotyczyć około 6-13% kobiet na świecie. Częstość jej występowania szacuje się na 2-11% wśród kobiet bezobjawowych, 5-50% wśród kobiet z niepłodnością oraz 5-21% wśród kobiet hospitalizowanych z powodu bólu miednicy. Powołując się na dane Agencji Badań Medycznych, zaznaczono, że endometrioza może dotyczyć 6–10% kobiet w wieku 15-49 lat. W projekcie wskazano również, że w Polsce z chorobą może zmagać się nawet 3 mln kobiet. W projekcie przedstawiono również dane pochodzące z NFZ, które wskazują, że w latach 2021-2025 nastąpił wzrost liczby rozpoznanych przypadków endometriozy. W 2025 r. w publicznym systemie opieki zdrowotnej odnotowano 36 158 kobiet z rozpoznaniem głównym endometriozy, co odpowiadało 427,6 przypadkom na 100 tys. kobiet w wieku rozrodczym. W województwie wielkopolskim rozpoznanie to dotyczyło 3 131 pacjentek (389,6/100 tys. kobiet w wieku rozrodczym).

W odniesieniu do danych lokalnych wskazano również, że w Ostrowie Wielkopolskim w 2025 r. odnotowano 72 przypadki pacjentek z rozpoznaniem głównym endometriozy (tj. 494,7/100 tys. kobiet w wieku rozrodczym). W latach 2021-2025 rozpoznanie endometriozy odnotowano u 208 mieszkanek Ostrowa Wielkopolskiego korzystających ze świadczeń finansowanych ze środków publicznych. Zgodnie z danymi Wielkopolskiego OW NFZ, w latach 2021-2025 w 51,5% przypadków sprawozdano rozpoznanie z głównej kategorii ICD-10: N80. Największy odsetek rozpoznań dotyczył kobiet w grupie wiekowej 35-44 i 25-34, odpowiednio 50,2 i 31,4% wszystkich rozpoznań.

Warto zaznaczyć, że w Mapie Potrzeb Zdrowotnych (MPZ) na lata 2022-2026 nie odniesiono się bezpośrednio do omawianego problemu zdrowotnego. Z kolei w następnej edycji MPZ na lata 2027-2031 wskazano, że ze względu na brak swoistego markera biochemicznego nie jest możliwe jednoznaczne określenie częstości występowania endometriozy, jednak szacuje się, że choroba dotyczy około 10% kobiet w wieku rozrodczym. Ponadto podkreślono potrzebę zapewnienia pacjentkom kompleksowej opieki specjalistycznej oraz poprawy nadzoru nad procesem diagnostyczno-leczniczym.

Wyniki przeglądu systematycznego 12 RCT wskazują, że ultrasonografia przezpochwowa (TVU) jest dokładną, nieinwazyjną metodą wykrywania endometriozy głęboko naciekającej (DIE). Wyniki metaanalizy okazały się stabilne, a diagnoza za pomocą TVU wykazała wysoką czułość (98%) i swoistość (prawie 100%), co wskazuje, że TVU może być dobrą metodą wykrywania DIE (Xiang 2022).

Z kolei wyniki badania kontrolowanego z randomizacją wskazują, że praktykowanie jogi (w postaci 90-minutowych sesji przez 8 tygodni) przez kobiety z endometriozą może wiązać się istotną redukcją przewlekłego bólu

miednicy oraz poprawą w wielu domenach kwestionariusza EHP-30, dotyczących jakości życia (Goncalves 2017).

W innym randomizowanym badaniu wykazano, że treningi polegające na progresywnej relaksacji mięśni (dwie 40-minutowe sesje w tygodniu przez 12 tygodni) u kobiet leczonych agonistą GnRH wiązały się z większą skutecznością w zakresie łagodzenia bólu, lęku, depresji oraz poprawy jakości życia w porównaniu z wynikami uzyskanymi w grupie kontrolnej. Np. poprawa dotycząca odczuwania bólu w grupie kontrolnej wyniosła $16,64 \pm 21,73$ pkt, podczas gdy w grupie interwencyjnej odnotowano poprawę o $34,34 \pm 18,47$ pkt ($p < 0,001$) (Zhao 2012).

Dodatkowo, kontrolowane badanie z randomizacją wykazało, że poradnictwo grupowe w postaci cotygodniowych 60-90 min sesji może stanowić wartościowe uzupełnienie rutynowej opieki nad kobietami z endometriozą, prowadząc do zmniejszenia lęku (zarówno lęku jako stanu i jako cechy) oraz poprawy jakości życia (Farschi 2020).

Podsumowując, Wnioskodawca przygotował zasadniczo poprawny program polityki zdrowotnej. Właściwie opisano problem zdrowotny i epidemiologię wraz z uwzględnieniem referencji bibliograficznych, na podstawie których opracowano projekt. Należy podkreślić, że zaproponowane interwencje są zgodne z aktualnymi wytycznymi oraz dowodami pochodzącymi z randomizowanych badań klinicznych. Projekt zawiera klarowny opis etapów i działań podejmowanych w ramach programu. W projekcie programu przedstawiono informacje nt. warunków dotyczących personelu, wyposażenia i warunków lokalowych. Zaplanowano konsultację kwalifikującą do programu, diagnostykę endometriozy, warsztaty edukacyjne oraz działania szkoleniowe dla personelu medycznego. Ustalono, że na podstawie indywidualnych potrzeb pacjentki określony zostanie zakres diagnostyki endometriozy, z uwzględnieniem jej historii medycznej i badań wykonanych przed zgłoszeniem do programu, co ma zapobiegać podwójnemu finansowaniu świadczeń ze środków publicznych. W ramach diagnostyki zaplanowano możliwość przeprowadzenia badania ginekologicznego, obejmującego inspekcję i palpację powłok jamy brzusznej, wziernikowanie sklepień pochwy oraz dwuręczne badanie ginekologiczne, przezpochwowe badanie ultrasonograficzne, USG eksperckiego w algorytmie endometriozy, a także badania laboratoryjnego krwi obejmującego oznaczenie markerów CA-125 oraz BDNF wraz z analizą wyników. Badanie laboratoryjne będzie wykonywane zgodnie z aktualną wiedzą medyczną i wskazaniem lekarza kwalifikującego do programu. W przypadku potwierdzenia rozpoznania endometriozy zaplanowany zostanie również udział pacjentki w warsztatach edukacyjnych i fizjoterapeutycznych.

Należy podkreślić, że zaproponowano i prawidłowo przedstawiono również mierniki, sposób zakończenia udziału w programie, akcję informacyjną oraz monitoring i ewaluację programu. Budżet projektu zawiera nieprzeszacowane koszty jednostkowe i nie budzi zastrzeżeń. Realizator programu zostanie wybrany w drodze konkursu. Program zapewnia pacjentkom możliwość dostępu do kompleksowej opieki specjalistycznej oraz poprawy nadzoru nad procesem diagnostyczno-leczniczym w tej trudnej i przewlekłej chorobie stanowi o niezbędności wsparcia i potrzebie podjęcia inicjatywy.

Uwagi Rady

- *Należy uzasadnić przyjęte wartości w celu głównym i celach szczegółowych;*
- *Należy ponownie przeanalizować kryteria wyłączenia, ponieważ wydaje się niezasadne ponowne zastosowanie tych samych kryteriów wyłączenia na etapie diagnostyki.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.63.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie wczesnej diagnostyki endometriozy oraz edukacji zdrowotnej dla mieszkanki Ostrowa Wielkopolskiego” realizowany przez: Miasto Ostrów Wielkopolski; data ukończenia: październik 2026 r. oraz Aneksu „Opieka nad kobietami chorymi na endometriozę” z marca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 139/2026 z dnia 12 października 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
immunoglobuliny w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. leczenie chorych
w zespole sztywności uogólnionej

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancje czynne immunoglobuliny we wskazaniach pozarejestacyjnych: leczenie chorych w zespole sztywności uogólnionej, w ramach programu lekowego B.67. „Leczenie immunoglobulinami osób z chorobami neurologicznymi”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W poprzedniej opinii z 18 grudnia 2023 roku Rada Przejrzystości uznała za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne immunoglobuliny we wskazaniu pozarejestacyjnym: leczenie chorych w zespole sztywności uogólnionej, w ramach programu lekowego B.67. „Leczenie immunoglobulinami osób z chorobami neurologicznymi”.

Jako główne argumenty decyzji Rada uznała:

- stosowanie leków zawierających substancje czynne immunoglobuliny w tym wskazaniu jest skuteczne i bezpieczne;*
- oceniana terapia jest rekomendowana przez towarzystwa naukowe i ekspertów;*

immunoglobuliny w tym wskazaniu są finansowane w ramach hospitalizacji, a przeniesienie ich do programu lekowego ograniczy koszty związane ze zbędną hospitalizacją.

Dowody naukowe

Po 2023 r. nie pojawiło się nowe, duże randomizowane badanie kliniczne dożylnych preparatów immunoglobulin (IVIG) w zespole sztywności uogólnionej (SPS). Pozytywne stanowisko opiera się zatem na utrzymaniu wcześniej wykazanej skuteczności, jej potwierdzeniu w aktualnych przeglądach oraz

korzystnym stosunku spodziewanych korzyści do ryzyka u odpowiednio wybranych pacjentów.

Po analizie publikacji z lat 2024–2026, następujące argumenty przemawiają za zasadnością kontynuacji refundacji leków zawierających immunoglobuliny w tym wskazaniu:

1. Przegląd systematyczny Lengleta i wsp. (2025) potwierdza, że IVIG pozostają immunoterapią SPS o najsilniejszym udokumentowaniu skuteczności. Należy zwrócić uwagę na finansowanie przeglądu Lengleta i wsp. (2025). Praca była sponsorowana przez LFB, producenta leków osoczopochodnych. Sponsor uczestniczył w projektowaniu przeglądu, a zewnętrzna firma współpracująca przy projekcie wykonywała prace metodologiczne i analityczne. Autorzy deklarują jednak, że LFB nie uczestniczyło w interpretacji wyników ani decyzji o publikacji. Dlatego fundamentem opinii nadal pozostaje badanie Dalakasa i wsp. z 2001 roku, a prace z lat 2024–2026 należy traktować jako aktualizację i potwierdzenie jego znaczenia, nie jako nowe niezależne dowody o porównywalnej sile. W tym klasycznym RCT u 16 pacjentów wykazano istotny efekt IVIG względem placebo dla sztywności ($p=0,01$), a u 11 z 14 ocenianych uczestników zaobserwowano poprawę chodu lub codziennego funkcjonowania.
2. Przegląd Dalakasa (2024) podtrzymuje miejsce IVIG w leczeniu pacjentów z niewystarczającą odpowiedzią na leczenie objawowe.

Dodatkowych informacji dostarcza badanie wieloletnich wyników leczenia opublikowane przez Mangiorisa i wsp. (2026).

Aktualizacja wytycznych klinicznych

Zaktualizowane kanadyjskie zalecenia Ontario (2025) jednoznacznie rekomendują IVIG chorym z SPS i istotnym upośledzeniem funkcjonowania, pod warunkiem okresowej oceny efektów terapii.

Główne argumenty decyzji

- Dożylne immunoglobuliny pozostają metodą immunoterapii SPS o najlepiej udokumentowanej skuteczności klinicznej.
- Pomimo ograniczonej liczby badań wysokiej jakości, brak jest obecnie alternatywnej immunoterapii o równie mocnych podstawach dowodowych.

Uwaga Rady

Jest to terapia bardzo kosztowna. Wskazane jest więc systematyczne monitorowanie odpowiedzi klinicznej i okresowa weryfikacja zasadności leczenia podtrzymującego.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).



Opinia Rady Przejrzystości
nr 140/2026 z dnia 12 października 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne
amisulpridum, aripiprazolum, olanzapinum, quetiapinum,
risperidonum, ziprazidonum, sertindolum – postaciach doustnych
w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu
podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu
Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną amisulpridum, aripiprazolum, olanzapinum, quetiapinum, risperidonum, ziprazidonum, sertindolum – postaciach doustnych we wskazaniach pozarejestacyjnych oznaczonych kodami ICD-10: F21; F22; F23; F24; F25; F28; F29.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Poprzednia opinia Rady Przejrzystości nr 199/2023 z dnia 18 grudnia 2023 roku w omawianych wskazaniach była pozytywna.

Dowody naukowe

Na podstawie obszernej analizy badań w ww. temacie i wskazaniach stwierdza się, że nie ukazały się żadne nowe dowody naukowe wskazujące na niebezpieczeństwo stosowania ww. substancji w leczeniu psychiatrycznym off-label. Dodatkowo od czasu poprzedniej decyzji Rady odnaleziono 4 aktualizacje zaleceń i wytycznych w tym NICE 2026, które nie zmieniają wnioskowania.

Główne argumenty decyzji

- *Niezaspokojona potrzeba kliniczna.*
- *Brak nowych dowodów naukowych i zaleceń, które uzasadniałyby zmianę poprzedniej decyzji Rady.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).