DOR.001.46.2026.PP

Protokół z posiedzenia Rady Przejrzystości 46/2026 w dniu 2 listopada 2026 roku w formie wideokonferencji

Tomasz Pasierski otworzył posiedzenie o godzinie 09:59.

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

1. Artur Bachta
2. Robert Bryzek
3. Andrzej Dąbrowski
4. Elżbieta Lanc
5. Tomasz Pasierski
6. Jacek Rubik
7. Zbigniew Siudak
8. Anna Socha-Banasiak
9. Aleksandra Zasada

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 Codaxor (clopidogrelum + acidum acetylsalicylicum) we wskazaniu: w profilaktyce wtórnej powikłań zakrzepowych w przebiegu miażdżycy u osób dorosłych, którzy przyjmują zarówno klopidogrel, jak i kwas acetylosalicylowy (ASA).
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum), w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)".
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Imfinzi (durvalumabum) w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych na raka przełyku, połączenia żołądkowo-przełykowego i żołądka (ICD-10: C15-C16)".
5. Przygotowanie opinii w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.125. „Leczenie pacjentów chorych na kolczystokomórkowego raka skóry (ICD-10: C44.12, C44.22,C44.32, C44.42, C44.52, C44.62, C44.72, C44.82, C44.92)".
6. Przygotowanie opinii w sprawie połączenia substancji czynnych niwolumabum + relatlimabum (Opdualag) we wskazaniu pozarejestracyjnym dot. zmian w

programie lekowym B.59 „Leczenie chorych na czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD 10: C43)".

7. Wczesne wykrywanie wad wzroku u dzieci - przygotowanie opinii w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów.
8. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Tomasz Pasierski zadeklarował konflikt interesów odnoszący się do leku Imfinzi, w związku z czym Rada podjęła decyzję o wyłączeniu go z głosowania w ramach pkt. 4 porządku obrad.

Żaden z pozostałych członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 9 głosami „za" zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji omówił raport dot. leku Codaxor (clopidogrelum + acidum acetylsalicylicum).

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli Andrzej Dąbrowski i Tomasz Pasierski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Zbigniew Siudak i Elżbieta Lanc, a przedstawił Zbigniew Siudak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Tomasz Pasierski i Zbigniew Siudak.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za" uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji podsumował raport dot. leku Tevimbra (tislelizumabum).

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli: Tomasz Pasierski, Andrzej Dąbrowski i Artur Bachta.

Projekt stanowiska Rady przygotowali i przedstawili Artur Bachta i Robert Bryzek.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Tomasz Pasierski i Artur Bachta.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 9 głosami „za" uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Zbigniew Siudak opuścił posiedzenie.

Ad 4. Analityk Agencji zaprezentował kluczowe informacje z raportu dot. leku Imfinzi (durvalumabum).

Rada wysłuchała stanowiska eksperta, który odpowiadał również na pytania.

We wstępnej dyskusji Rady uczestniczyli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Andrzej Dąbrowski i Jacek Rubik, a przedstawił Andrzej Dąbrowski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Prowadzący zarządził głosowanie. Z uwagi na zadeklarowany konflikt interesów Tomasz Pasierski nie wziął w nim udziału, a jego głos liczony był jako „wstrzymujący się". Rada 6 głosami „za", 1 głosem „przeciw" oraz 1 głosem „wstrzymującym się" uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analityk Agencji omówił raport dotyczący zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.125.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli Tomasz Pasierski i Andrzej Dąbrowski.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Aleksandra Zasada.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za" uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analityk Agencji zaprezentował dane dot. substancji czynnych niwolumabum + relatlimabum we wskazaniu pozarejestracyjnym dot. zmian w programie lekowym B.59.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Jacek Rubik.

W dyskusji, w wyniku której Rada doprecyzowała treść uchwały udział wzięli: Andrzej Dąbrowski, Tomasz Pasierski i Aleksandra Zasada.

Prowadzący zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 7 głosami „za", 1 głosem „przeciw" uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analityk Agencji przedstawił najważniejsze informacje z raportu dot. wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci.

We wstępnej dyskusji Rady udział wzięli Anna Socha-Banasiak i Tomasz Pasierski.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Anna Socha-Banasiak.

Prowadzący doprecyzował treść uchwały, po czym zarządził głosowanie, w wyniku którego Rada 8 głosami „za" uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Prowadzący zakończył posiedzenie o godzinie 13:13.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 173/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie oceny leku Codaxor (clopidogrelum + acidum acetylsalicylicum) we wskazaniu dot. profilaktyki wtórnej powikłań zakrzepowych w przebiegu miażdżycy u osób dorosłych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Codaxor (clopidogrelum + acidum acetylsalicylicum), tabletki powlekane, 75 mg + 75 mg, 30 tabl., GTIN: 05909991555108, we wskazaniu: profilaktyka wtórna powikłań zakrzepowych w przebiegu miażdżycy u osób dorosłych, którzy przyjmują zarówno klopidogrel, jak i kwas acetylosalicylowy (produkt leczniczy Codaxor jest złożonym produktem leczniczym o ustalonej dawce, przeznaczonym do kontynuacji dotychczasowego leczenia:

- *ostrego zespołu wieńcowego bez uniesienia odcinka ST (niestabilna dławica piersiowa lub zawał mięśnia sercowego bez załamka Q), w tym pacjentów, którym wszczepia się stent w czasie zabiegu przezskórnej angioplastyki wieńcowej (ang. Percutaneous Coronary Intervention, PCI),*
- *ostrego zawału mięśnia sercowego z uniesieniem odcinka ST (STEMI) u pacjentów poddanych zabiegowi PCI (w tym u pacjentów, którym wszczepia się stent) lub leczonych zachowawczo, kwalifikujących się do leczenia trombolitycznego i (lub) fibrynolitycznego),*

jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Codaxor (klopidogrel + kwas acetylosalicylowy) we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji, tj. „Profilaktyka wtórna powikłań zakrzepowych w przebiegu miażdżycy u osób dorosłych, którzy przyjmują zarówno klopidogrel, jak i kwas acetylosalicylowy. Produkt leczniczy Codaxor jest złożonym produktem leczniczym o ustalonej dawce, przeznaczonym do kontynuacji dotychczasowego leczenia: ostrego zespołu wieńcowego

bez uniesienia odcinka ST (niestabilna dławica piersiowa lub zawał mięśnia sercowego bez załamka Q), w tym pacjentów, którym wszczepia się stent w czasie zabiegu przezskórnej angioplastyki wieńcowej (PCI); ostrego zawału mięśnia sercowego z uniesieniem odcinka ST (STEMI) u pacjentów poddanych zabiegowi PCI (w tym u pacjentów, którym wszczepia się stent) lub leczonych zachowawczo, kwalifikujących się do leczenia trombolitycznego i (lub) fibrynolitycznego".

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

<u>Dowody naukowe</u>

Kluczowym ograniczeniem analizy klinicznej (AKL) wnioskodawcy jest brak badań oceniających skuteczność oraz bezpieczeństwo stosowania produktu leczniczego Codaxor względem komparatora, jakim jest jednoczesne stosowanie terapii skojarzonej klopidogrelem i ASA (kwas acetylosalicylowy) w odrębnych preparatach.

Jedynym dowodem naukowym jest 1 badanie z randomizacją (badanie biorównoważności BDR4659), w którym przedstawiono wyniki oceny biorównoważności produktu złożonego zawierającego klopidogrel i kwas acetylosalicylowy (75/75 mg) [DuoPlavin] z produktem skojarzonym obejmującym klopidogrel (75 mg) i kwas acetylosalicylowy (75 mg) podawanym w postaci odrębnych produktów leczniczych. Ponadto przedstawiono wyniki badań z rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. real world evidence, RWE), obejmujących badania DAPT-TR, Deharo 2014 oraz 2 badania porejestracyjne (EPI POZ [2015] i EPI EGB [2015-2017]). Dodatkowo zaprezentowano wyniki biorównoważności preparatu Clopidogrel/Acetylsalicylsäure Vivanta 75 mg/75 mg (klopidogrel/ASA, 75/75 mg) względem produktu referencyjnego DuoPlavin (klopidogrel/ASA, 75/75 mg).

Badanie biorównoważności BDR4659

W badaniu BDR4659 wykazano biorównoważność preparatu złożonego (ang. fixed-dose combination, FDC) klopidogrel/ASA (DuoPlavin) w porównaniu z oddzielnie podawanymi tabletkami klopidogrelu i ASA dla parametrów AUC (ang. Area Under the Curve) i Cmax metabolitu klopidogrelu (SR26334) oraz kwasu salicylowego. Uzyskane wartości AUC i Cmax spełniały standardowe kryteria biorównoważności (90% CI w zakresie 0,80–1,25). W przypadku ASA wykazano biorównoważność dla parametru AUC, natomiast nie wykazano biorównoważności dla parametru Cmax.

Badanie biorównoważności (PAR Clopidogrel/Acetylsalicylsäure Vivanta 75 mg/75 mg)

W badaniu farmakokinetycznym wykazano biorównoważność leku generycznego Clopidogrel/Acetylsalicylsäure Vivanta 75/75 mg względem produktu referencyjnego DuoPlavin (klopidogrel i kwas acetylosalicylowy, 75/75 mg). Parametry AUC0-t oraz Cmax dla klopidogrelu, ASA i kwasu salicylowego spełniały kryteria EMA (90% CI w zakresie 80–125%). Warto zaznaczyć, iż produkt leczniczy Clopidogrel/Acetylsalicylsäure Vivanta 75/75 mg jest odpowiednikiem dla leku Codaxor.

Badania z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE)

DAPT-TR

W tureckim badaniu DAPT-TR pacjenci otrzymywali preparat złożony (FDC, brak podania nazwy leku). Pierwszorzędowe punkty końcowe obejmowały hospitalizację z jakiejkolwiek przyczyny, hospitalizację z przyczyn sercowo-naczyniowych, ostry zawał mięśnia sercowego, zakrzepicę w stencie oraz rewaskularyzację naczynia docelowego. W grupie pacjentów z zawałem mięśnia sercowego z uniesieniem odcinka (STEMI) odsetki po 6 mies. leczenia wynosiły odpowiednio 13,4%, 7,8%, 2,3%, 2,3% i 5,3%. Z kolei w grupie chorych z ostrym zespołem wieńcowym bez uniesienia odcinka ST (NSTE-ACS) wartości te wyniosły odpowiednio 13,8%, 8%, 2,6%, 1,2% oraz 4,3%.

Deharo 2014

We francuskim badaniu Deharo 2014 po miesiącu obserwacji wskaźnik nieprzestrzegań zaleceń terapeutycznych był niższy w grupie pacjentów otrzymujących preparat złożony (klopidogrel/ASA, brak podania nazwy leku) niż w grupie leczonej oddzielnymi preparatami klopidogrelu i ASA (7% vs 17%, OR = 0,32; p = 0,01)

EPI POZ 2015

W badaniu EPI POZ stwierdzono nieprzestrzeganie zalecanego dawkowania preparatu DuoPlavin (jedna tabletka 75/75 mg na dobę) u 8,6% pacjentów (45/522), niezgodność stosowania ze wskazaniami rejestracyjnymi u 49,3% pacjentów (263/534) oraz brak przestrzegania wcześniejszego leczenia skojarzeniem klopidogrelu i ASA w tej samej dawce u 52,9% pacjentów (280/529).

Wytyczne kliniczne

Odnaleziono trzy wytyczne odnoszące się do analizowanego wskazania: amerykańskie (ACC 2026 r. oraz ACC-AHA z 2025 r.) oraz europejskie wytyczne (ESC 2023 r.) Jedynie wytyczne ACC 2026 r. odnoszą się do stosowania produktów

złożonych jako elementu strategii mających na celu poprawę przestrzegania zaleceń.

Stosowanie skojarzenia klopidogrelu z kwasem acetylosalicylowym stanowi jeden ze schematów podwójnej terapii przeciwpłytkowej (ang. dual antiplatelet therapy, DAPT), w skład której wchodzi inhibitor P2Y12 i kwas acetylosalicylowy.

Wytyczne zalecają jako inhibitor P2Y12 głównie prasugrel lub tikagrelor, natomiast klopidogrel nie jest preferowanym elementem DAPT u wszystkich pacjentów z ACS i powinien być stosowany, gdy prasugrel i tikagrelor są niedostępne, nietolerowane lub przeciwwskazane.

Odnalezione wytyczne nie wskazują terapii skojarzonej klopidogrelem i ASA w postaci osobnych tabletek jako alternatywy dla leku złożonego, niemniej jednak wytyczne amerykańskie ACC 2026 r. zalecają stosowanie preparatów złożonych (ang. polypill) w ramach strategii mającej na celu poprawę przestrzegania zaleceń.

<u>Problem ekonomiczny</u>

Zgodnie z oszacowaniami wnioskodawcy objęcie refundacją produktu leczniczego Codaxor w wariancie podstawowym spowoduje spadek wydatków NFZ o ok. 1,80 mln PLN w I roku i o 3,74 mln PLN w II roku analizy. Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono 4 rekomendacje pozytywne, wszystkie wydane dla leku DuoPlavin przez francuską agencję HAS (2010, 2015, 2023 i 2026 r.). W rekomendacjach zwraca się głównie uwagę na fakt, że jest to jedyna dostępna na rynku stała kombinacja klopidogrelu i ASA. Ponadto rekomendacje odnotowują pozytywny stosunek korzyści do ryzyka i zgodność leczenia z uznaną strategią terapeutyczną (DAPT). Jednocześnie podkreślają brak dodatkowej wartości leku DuoPlavin w porównaniu do terapii skojarzonej oddzielnymi preparatami

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Wyniki badań biorównoważności.*
- *Zalecenia wytycznych postępowania klinicznego zarówno europejskich jak i amerykańskich.*
- *Korzystny efekt ekonomiczny dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków

publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTOW.4130.9.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Codaxor (klopidogrel + kwas acetylosalicylowy) we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach na dzień wydania decyzji”; data ukończenia: 22 październikan2026 r.

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 174/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie oceny leku Tevimbra (tislelizumabum) w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumabum), koncentrat do sporządzenia roztworu do infuzji, 10 mg/ml, 1 fiol., GTIN: 08720598340280, we wskazaniu: leczenie neoadjuwantowe w skojarzeniu z chemioterapią opartą na związkach platyny przed zabiegiem chirurgicznym, a następnie w monoterapii po zabiegu chirurgicznym, u dorosłych pacjentów z resekcyjnym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) ze stopniem zaawansowania II-IIIA, w ramach programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) oraz międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Tislelizumab jest wariantem humanizowanego przeciwciała monoklonalnego z klasy immunoglobulin G4 (IgG4) skierowanym przeciwko PD-1, wiążącym się z zewnątrzkomórkową domeną ludzkiego PD-1. Kompetencyjnie blokuje wiązanie zarówno PD-L1, jak i PD-L2, hamując szlak sygnałowy negatywnie regulowany przez PD-1 i wzmacniając funkcjonalną aktywność limfocytów T w testach komórkowych (ang. cell-based assays) w warunkach in vitro.

Rak płuca stanowi większość nowotworów płuca i jest najczęstszym nowotworem złośliwym w Polsce zarówno pod względem liczby zachorowań (ok. 25 tys. rocznie – prognoza KRN na 2024 r.), jak i liczby zgonów. Ogólna 5- letnia przeżywalność stanowi 10–15% (operowanych i nieoperowanych łącznie). Rak płuca w 2022 r. był najczęstszą przyczyną zgonów na nowotwór złośliwy.

Przedmiotowy wniosek dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Tevimbra (tislelizumab), w leczeniu neoadjuwantowym w skojarzeniu z chemioterapią obejmującą pochodne platyny, a następnie w monoterapii jako

leczenie adjuwantowe, u dorosłych pacjentów z resekcyjnym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP) ze stopniem zaawansowania II-IIIA, pod warunkiem potwierdzenia możliwości doszczętnego leczenia chirurgicznego zgodnie z zapisami wnioskowanego programu lekowego B.6. „Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) i międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)".

<u>Dowody naukowe</u>

Dostępne są wyniki z badania pierwotnego z randomizacją (badanie RATIONALE-315) porównującego skuteczność i bezpieczeństwo leczenia neoadjuwantowego tislelizumabem w skojarzeniu z chemioterapią dwulekową opartą na pochodnych platyny, a następnie leczenia adjuwantowego tislelizumabem w monoterapii, w porównaniu z neoadjuwantowym placebo skojarzonym z chemioterapią dwulekową opartą na pochodnych platyny i adjuwantowym placebo u pacjentów z resekcyjnym NDRP w stadium II-IIIA. Badanie potwierdziło znaczące wydłużenie całkowitego przeżycia i przeżycia wolnego od zdarzeń w grupie leczonej tislelizumabem w ww. schemacie.

Jako komparatory dla wnioskowanego leczenia można wskazać refundowane obecnie w Polsce terapie pembrolizumabem, niwolumabem oraz druwalumabem, stosowane w skojarzeniu z chemioterapią opartą na pochodnych platyny w leczeniu neoadjuwantowym, a następnie w monoterapii w leczeniu adjuwantowym

Dostępne są jedynie porównania pośrednie pomiędzy wnioskowaną terapią a ww. komparatorami. Porównania te nie pozwalają na jednoznaczne wskazanie różnic dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa pomiędzy terapiami.

Wytyczne kliniczne

U pacjentów z NDRP w stopniach zaawansowania I-II i u wybranych pacjentów ze stopniem zaawansowania III leczeniem z wyboru jest doszczętna resekcja miąższu płucnego. Wybór okołooperacyjnego leczenia systemowego w resekcyjnym NDRP w stopniu II-III jest uzależniony m.in. od charakterystyki molekularnej nowotworu, w tym obecności mutacji w genie EGFR oraz rearanżacji ALK, a także od występowania przeciwwskazań do poszczególnych metod leczenia.

Wytyczne ESMO dotyczące praktyki klinicznej w zakresie diagnostyki, leczenia i obserwacji po leczeniu: wczesny i miejscowo zaawansowany niedrobnokomórkowy rak płuca, uwzględniają neoadjuwantowy tislelizumab z chemioterapią opartą na pochodnych platyny, a następnie adjuwantowy tislelizumab. Leczenie to jest zatwierdzone przez EMA, niezatwierdzone przez FDA. Brak jest rekomendacji dotyczących stosowania tislelizumabu w wytycznych amerykańskich NCCN, polskich PTOK oraz brytyjskich NICE. Może to wynikać z braku rejestracji tego leku w analizowanym wskazaniu przez wydaniem aktualnej wersji ww. wytycznych.

Problem ekonomiczny

Wyniki analizy podstawowej wskazują, iż stosowanie leku Tevimbra (tislelizumab w schemacie periop-TIS) w miejsce pembrolizumabu w schemacie periop-PBR jest droższe o w wariancie bez RSS oraz tańsze o w wariancie z RSS. Cena progowa leku Tevimbra wynosi . Jest ona

W związku z rozpoczęciem refundacji leków Opdivo (niwolumab) oraz Imfinzi (durwalumab) w leczeniu okołooperacyjnym resekcyjnego NDRP: periop-NIWO i periop-DUR, analitycy Agencji zdecydowali się na obliczenie i zestawienie kosztów wszystkich tych terapii. Porównywano koszt samej immunoterapii przy założeniu maksymalnych dawek i ilości cykli możliwych w każdym schemacie. W wariancie bez RSS koszt periop-TIS wynosi ok. (droższy od niego jest tylko koszt periop-DUR, . Natomiast w wariancie z RSS koszt periop-TIS jest najwyższy z porównywanych i wynosi ok. .

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną rekomendację refundacyjną: G-BA 2025. W ocenie G-BA nie przedstawiono odpowiednich danych umożliwiających porównanie tislelizumabu z komparatorami. W związku z brakiem odpowiednich dowodów klinicznych uznano, że dodatkowa korzyść terapeutyczna tislelizumabu nie została wykazana.

Główne argumenty decyzji

- *Brak badań bezpośrednio porównujących ocenianą technologię z podstawowymi komparatorami stosowanymi w praktyce klinicznej.*
- *Słabo udokumentowane korzyści dla płatnika.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAP.4131.10.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Tevimbra (tislelizumab) w ramach programu lekowego: B.6. »Leczenie chorych na raka płuca (ICD-10: C34) i międzybłoniaka opłucnej (ICD-10: C45)«”; data ukończenia: 20 października 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (BeOne Medicines Poland sp. z o.o.).*

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

***Organ dokonujący wyłączenia jawności**: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.*
***Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności**: BeOne Medicines Poland sp. z o.o.*

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Merck Sharp & Dohme B.V., AstraZeneca AB, Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, BeOne Medicines Poland sp. z o.o.).*

***Zakres wyłączenia jawności**: dane objęte oświadczeniem Merck Sharp & Dohme B.V., AstraZeneca AB, Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, BeOne Medicines Poland sp. z o.o. o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.*
***Podstawa prawna wyłączenia jawności**: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 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**: Merck Sharp & Dohme B.V., AstraZeneca AB, Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG, BeOne Medicines Poland sp. z o.o.*

Stanowisko Rady Przejrzystości nr 175/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie oceny leku Imfinzi (durvalumabum) w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych na raka przełyku, połączenia żołądkowo-przełykowego i żołądka (ICD-10: C15-C16)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Imfinzi (durwalumabum), koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 50 mg/ml, 1 fiol., 10 ml, GTIN: 05000456031493, w ramach programu lekowego B.58. „Leczenie chorych na raka przełyku, połączenia żołądkowo-przełykowego i żołądka (ICD-10: C15-C16)”, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go bezpłatnie, pod warunkiem znacznego obniżenia kosztów terapii durwalumabem.

Rada Przejrzystości zgłasza następujące uwagi do propozycji instrumentu dzielenia ryzyka. Pooperacyjna faza leczenia powinna być objęta dodatkowym, znacznie pogłębionym instrumentem podziału ryzyka (upust cenowy lub limit kosztu leczenia jednego pacjenta).

Rada nie zgłasza uwag do projektu programu lekowego.

Uzasadnienie

<u>Problem decyzyjny</u>

Ocena zasadności refundowania terapii okołooperacyjnej durwalumabem w skojarzeniu z chemioterapią (FLOT) w leczeniu chorych na raka przełyku, połączenia żołądkowo-przełykowego i żołądka, w ramach programu lekowego B.58.

W aktualnie obowiązującym programie lekowym B.58 nie istnieje terapia okołooperacyjna. Finansowane są, nieuwzględniające durwalumabu, trzy linie leczenia zaawansowanego raka żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego.

<u>Dowody naukowe</u>

W badaniu Matterhorn wykazano klinicznie istotną poprawę przeżycia całkowitego (OS) dla zastosowanej strategii okołooperacyjnej.

Bezwzględna poprawa OS po 36 miesiącach wyniosła 6,7% (w porównaniu do samej chemioterapii FLOT), co odpowiada wartości NNT około 15. Oznacza to, że aby uzyskać jednego dodatkowego chorego żyjącego po 3 latach, należy rozpocząć terapię durwalumabem u ok. 15 pacjentów. W finalnej analizie oceny OS, mediana okresu obserwacji wynosiła 43,0 [3,4-57,0] miesiące w grupie badanej i 42,9 [0,0-56,5] miesiąca w grupie kontrolnej. W analizie wykazano, że zastosowanie wnioskowanej interwencji wiąże się z istotnym statystycznie obniżeniem ryzyka zgonu o 22%. Pomimo wykazania istotnej poprawy przeżycia całkowitego, pełna ocena trwałości korzyści klinicznej z leczenia durwalumabem będzie możliwa dopiero po uzyskaniu dłuższych, co najmniej pięcioletnich obserwacji.

Badanie Matterhorn nie zostało zaprojektowane do odrębnej oceny skuteczności fazy neoadjuwantowej i adjuwantowej. Ponad 70% planowanych dawek durwalumabu przypada na pooperacyjną monoterapię. Jednakże, nie wykazano niezależnego wpływu tej monoterapii na OS ani EFS.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne amerykańskie NCCN 2026 jako jedną z opcji, zalecają okołooperacyjne stosowanie durwalumabu w skojarzeniu z chemioterapią FLOT u pacjentów z resekcyjnym gruczolakorakiem połączenia przełykowo-żołądkowego. Kategoria zalecenia zależy od ekspresji PD-L1, statusu węzłów chłonnych oraz typu histologicznego nowotworu. W wytycznych nie przedstawiono jednoznacznie pełnego schematu ocenianej interwencji, obejmującego stosowanie durwalumabu z FLOT przed zabiegiem chirurgicznym i po nim, a następnie uzupełniającą monoterapię durwalumabem. Wytyczne uwzględniają również durwalumab w skojarzeniu z tremelimumabem, jednak wyłącznie w leczeniu neoadjuwantowym pacjentów z nowotworami MSI-H/dMMR.

Wytyczne amerykańskie NCCN 2026 jako jedną z opcji, zalecają okołooperacyjne stosowanie durwalumabu w skojarzeniu z chemioterapią FLOT u pacjentów z resekcyjnym gruczolakorakiem żołądka. Najwyższą kategorię zalecenia, tj. kategorię 1, schemat uzyskał u pacjentów z ekspresją PD-L1 CPS ≥1 lub TAP ≥1%. W przypadku klinicznie ujemnych węzłów chłonnych zalecenie ma kategorię 2A, natomiast u pacjentów z PD-L1 CPS <1 lub TAP <1% oraz w rozlanym typie raka żołądka kategorię 2B. Zalecenie NCCN nie wskazuje jednoznacznie na kontynuowanie durwalumabu w terapii adjuwantowej. Odrębne zalecenie dotyczące durwalumabu z tremelimumabem u pacjentów z MSI-H/dMMR nie odnosi się do ocenianej interwencji.

Wytyczne ESMO 2026 zalecają stosowanie durwalumabu w skojarzeniu z okołooperacyjną chemioterapią FLOT u pacjentów z miejscowo zaawansowanym (≥cT2 lub cN+, M0), operacyjnym gruczolakorakiem żołądkowo-przełykowym, obejmującym gruczolakoraka przełyku, połączenia

przełykowo-żołądkowego oraz żołądka. Schemat D-FLOT wskazano jako opcję preferowaną, jeżeli durwalumab jest dostępny.

<u>Problem ekonomiczny</u>

Oszacowany ICUR w wariancie z RSS wyniósł .
Wartość ta znajduje się poniżej progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji tj. 244 821 zł.
Objęcie refundacją ocenianej technologii lekowej będzie związane ze wzrostem wydatków płatnika publicznego. Całkowite wydatki NFZ w wariancie prawdopodobnym wyniosą .

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono łącznie 6 rekomendacji, w tym 4 pozytywne dotyczące Imfinzi we wnioskowanym wskazaniu (HAS 2026, NICE 2026, Medicinradet 2026, PBAC 2026), jedną pozytywną warunkowo (CDA-AMC 2026) oraz jedną rekomendację w trakcie oceny (G-BA 2026).
Rekomendacje pozytywne (HAS 2026, NICE 2026, Medicinradet 2026, PBAC 2026) wskazują na istotną klinicznie poprawę w zakresie EFS oraz OS raportowanych w badaniu MATTERHORN. W rekomendacji HAS 2026 wskazano, że korzyści w zakresie OS ograniczone są przez niedojrzałość danych, brak wykazanej poprawy jakości życia i zwiększoną toksyczność.

W rekomendacji pozytywnej warunkowo CDA-AMC 2026 wskazano korzyści kliniczne względem aktualnie stosowanego leczenia, jednak podkreślono niepewność związaną z niedojrzałością danych klinicznych. Jako warunki refundacji CDA-AMC wskazała spełnienie kryteriów kwalifikacji przez pacjenta oraz obniżenie ceny leku.

W ramach wnioskowanego wskazania, Imfinzi jest finansowany w 4 krajach UE i EFTA (na 30 wskazanych).

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Aktualne wytyczne międzynarodowe (ESMO i NCCN) zalecają okołooperacyjne stosowanie durwalumabu w skojarzeniu z chemioterapią FLOT u pacjentów z resekcyjnym gruczolakorakiem połączenia przełykowo-żołądkowego.*
- *Niepewność związaną z niedojrzałością danych klinicznych (zbyt krótka obserwacja). Brak danych na temat wpływu pooperacyjnej monoterapii na OS ani EFS.*
- *Znaczny wzrost wydatków z budżetu płatnika, nie uzasadniony relacją korzyści do kosztów.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s

ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.4131.26.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Imfinzi (durwalumab) w ramach programu lekowego B.58. »Leczenie chorych na raka przełyku, połączenia żołądkowo-przełykowego i żołądka (ICD-10: C15-C16)«”; data ukończenia: 20 października 2026 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **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 2025 r. poz. 907 z późn. zm.).*

***Organ dokonujący wyłączenia jawności**: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.*
***Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności**: AstraZeneca AB*

Opinia Rady Przejrzystości nr 143/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym B.125. „Leczenie pacjentów chorych na kolczystokomórkowego raka skóry (ICD-10: C44.12, C44.22, C44.32, C44.42, C44.52, C44.62, C44.72, C44.82, C44.92)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w ramach programu lekowego B.125. „Leczenie pacjentów chorych na kolczystokomórkowego raka skóry (ICD-10: C44.12, C44.22, C44.32, C44.42, C44.52, C44.62, C44.72, C44.82, C44.92).

Uzasadnienie

Proponowana zmiana polega na wprowadzeniu możliwości czasowego zawieszenia terapii cemiplimabem u pacjentów długotrwale leczonych, u których uzyskano trwałą odpowiedź na leczenie, z jednoczesnym zachowaniem możliwości ponownego włączenia terapii w przypadku progresji choroby.

Rak kolczystokomórkowy, rak płaskonabłonkowy skóry (ang. squamous cell carcinoma, łac. carcinoma planoepitheliale, carcinoma spinocellulare) to rosnący powoli, tworzący przerzuty odległe, złośliwy nowotwór skóry pochodzenia nabłonkowego, cechujący się różnicowaniem komórek w kierunku ulegających rogowaceniu keratynocytów, występujący głównie u rasy białej. Wysoko zróżnicowaną postać tego nowotworu dawniej nazywano rakiem kolczystokomórkowym.

Rak płaskonabłonkowy skóry jest drugim co do częstości (po raku podstawnokomórkowym) nowotworem złośliwym występującym u ludzi. Do najważniejszych czynników etiologicznych raka płaskonabłonkowego skóry należą: uwarunkowania genetyczne, promieniowanie ultrafioletowe (głównie UVB), ekspozycja na promieniowanie słoneczne (zwłaszcza w dzieciństwie), podeszły wiek, płeć męska, jasna karnacja, immunosupresja (wrodzona i nabyta), obecność rozległych blizn (zwłaszcza po oparzeniach) lub niegojących się ran (np. w przebiegu zespołu pozakrzepowego).

<u>Dowody naukowe</u>

W retrospektywnym badaniu dotyczącym zastosowania cemiplimabu w leczeniu nieoperacyjnego raka kolczystokomórkowego skóry (Banerjee 2026) wszyscy włączeni pacjenci otrzymywali cemiplimab w dawce 350 mg we wlewie dożylnym co 3 tygodnie. Leczenie kontynuowano do uzyskania całkowitej odpowiedzi, wystąpienia nieakceptowalnej toksyczności lub progresji choroby, maksymalnie przez 2 lata lub 35 cykli.

W badaniu rzeczywistej praktyki klinicznej cemiplimabem leczono 31 pacjentów z nieoperacyjnym cSCC; mediana obserwacji wyniosła 13 miesięcy. Pełne 2-letnie leczenie ukończyło 4 (12,9%) pacjentów, a 9 (29,0%) nadal otrzymywało terapię w momencie zakończenia badania. Leczenie przerwano głównie z powodu zdarzeń niepożądanych (10; 32,3%) oraz zgonu (5; 16,1%).

Skuteczność: CR uzyskano u 20 (64,5%), a PR u 6 (19,4%) pacjentów; ORR wyniósł 83,9% (95% CI: 66,3–94,6%). Progresję odnotowano u 2 (6,5%) pacjentów. Mediany PFS i OS nie zostały osiągnięte. 2-letni PFS wyniósł 57,5% (95% CI: 33,9–75,5%), a OS 70,6% (95% CI: 46,5–85,4%).

Bezpieczeństwo: AE wystąpiły u 24/31 (77,4%) pacjentów, a u 10 (32,3%) doprowadziły do przerwania terapii. Obejmowały m.in. zapalenie mięśnia sercowego, zaburzenia rytmu serca, zapalenie płuc i nerek, zaburzenia czynności wątroby oraz zapalenie stawów. Odnotowano również niewydolność nadnerczy i zmęczenie (po 9,7%), biegunkę (6,5%) oraz cukrzycę typu 1 (3,2%).

W retrospektywnym badaniu kohortowym (Bennett 2026) przedstawiono długoterminowe wyniki obserwacji pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry leczonych cemiplimabem w badaniu EMPOWER-CSCC-1. Spośród 39 pacjentów, którzy początkowo odpowiedzieli na leczenie cemiplimabem, u 10 wystąpiła progresja choroby. Najlepszą wcześniejszą odpowiedzią była CR u 2/10 oraz PR u 8/10 pacjentów. Osiem z tych przypadków progresji wystąpiło w ciągu 3 lat od rozpoczęcia leczenia. U pięciu pacjentów progresja wystąpiła podczas trwającego leczenia cemiplimabem, przy medianie czasu do progresji wynoszącej 12 miesięcy, natomiast u pozostałych pięciu progresja wystąpiła po zakończeniu leczenia o z góry określonym czasie trwania. Spośród tych ostatnich u dwóch pacjentów progresja wystąpiła w ciągu 4 miesięcy od zakończenia leczenia cemiplimabem, a u trzech kolejnych odpowiednio po 16, 17 i 35 miesiącach.

Czterech pacjentów otrzymało ponowny cykl leczenia cemiplimabem z powodu progresji choroby po zakończeniu pierwotnego leczenia w ramach badania EMPOWER-CSCC-1. U 3 z tych 4 pacjentów ponowne leczenie rozpoczęto z powodu progresji w tej samej lokalizacji choroby, która była monitorowana w badaniu EMPOWER-CSCC-1, pomimo ukończenia zaplanowanego cyklu terapii cemiplimabem: 96 tygodni u dwóch pacjentów i 54 tygodnie u jednego pacjenta.

Czas od zakończenia pierwszego cyklu cemiplimabu do progresji u tych trzech pacjentów wynosił odpowiednio 16, 17 i 35 miesięcy.

Wśród ponownie leczonych pacjentów: u jednego uzyskano CR po drugim cyklu cemiplimabu, jednak następnie wystąpiła progresja; u dwóch uzyskano stabilizację choroby i do daty odcięcia danych pozostawali oni bez progresji, odpowiednio przez 7 i 46 miesięcy od rozpoczęcia ponownego leczenia; u dodatkowego pacjenta z przerzutowym CSCC, u którego najlepszą odpowiedzią podczas pierwszego cyklu terapii była PR, po 5 miesiącach od zakończenia leczenia cemiplimabem wystąpiła progresja w postaci nowej lokalizacji choroby. Po ponownym zastosowaniu cemiplimabu pacjent uzyskał CR i do daty odcięcia danych pozostawał bez progresji przez 46 miesięcy od rozpoczęcia ponownego leczenia.

W badaniu Boutros 2024 retrospektywnie przeanalizowano dane pacjentów z potwierdzonym histopatologicznie miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym rakiem kolczystokomórkowym skóry (cSCC), leczonych cemiplimabem pod kątem wczesnego zakończenia leczenia cemiplimabem. W momencie odcięcia danych 9 pacjentów nadal otrzymywało leczenie, 17 pacjentów żyło i nie otrzymywało już leczenia, a 22 pacjentów zmarło. Mediana czasu leczenia cemiplimabem wyniosła 6,2 miesiąca (zakres: 0–31,6). Odsetek obiektywnych odpowiedzi (ORR) wyniósł 68%, a odsetek kontroli choroby (DCR) 78%. Mediana czasu do uzyskania częściowej odpowiedzi (PR) wyniosła 2,8 miesiąca (0,6–19,1). Mediana czasu do uzyskania całkowitej odpowiedzi (CR) wyniosła miesiące: 6,7 miesiące (2,2–19,1). Mediana czasu trwania leczenia po uzyskaniu CR wyniosła 3,4 miesiące (–2,9–9,9). Ujemna wartość oznacza, że CR uzyskano już po zakończeniu leczenia (2 przypadki). Trzech pacjentów przerwało leczenie z powodu zdarzenia niepożądanego. U wszystkich uzyskano odpowiedź na leczenie, jednak u jednego pacjenta zdarzenie niepożądane zakończyło się zgonem. Przy medianie okresu obserwacji wynoszącej 9,2 miesiąca (1,1–41) u żadnego z pacjentów, którzy wcześniej zakończyli leczenie, nie wystąpił nawrót choroby.

W badaniu Brett 2026 opisano końcową analizę wyników długoterminowych w grupach 1, 2 i 3 oraz analizę pierwotną grupy 6, leczonej stałą dawką cemiplimabu, otwartego badanie fazy 2 dotyczącego stosowania cemiplimabu pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry (EMPOWER-CSCC-1). Łącznie do grup 1–3 i 6 włączono 360 pacjentów z zaawansowanym cSCC, z których 358 otrzymało ≥1 dawkę cemiplimabu. W grupie 6 mediana wieku wynosiła 76 lat, 77,8% stanowili mężczyźni, a u 67,7% guz pierwotny był zlokalizowany w obrębie głowy i szyi. Mediana obserwacji wyniosła 42,5 miesiąca w grupach 1–3 oraz 8,7 miesiąca w grupie 6.

Skuteczność: ORR w grupie 6 wyniósł 44,8% (95% CI: 37,1–52,8) i był zbliżony do wyniku dla połączonych grup 1–3 (47,2%; 95% CI: 39,9–54,4). Mediana PFS

wyniosła odpowiednio 14,7 miesiąca i 22,1 miesiąca. Mediana OS nie została osiągnięta ani w grupie 6, ani w połączonych grupach 1–3. Szacowane 12-miesięczne prawdopodobieństwo utrzymania odpowiedzi (DOR) wynosiło 80,2% w grupie 6 oraz 87,2% w grupach 1–3 (74,1% po 24 miesiącach).

Grupa 6: TEAE wystąpiły u 98,8% pacjentów, najczęściej były to zmęczenie, biegunka i świąd. TEAE stopnia ≥3 odnotowano u 45,5%, głównie nadciśnienie tętnicze i zapalenie płuc (po 3,6%). Z powodu TEAE leczenie przerwało 13,9% pacjentów, a zdarzenia zakończone zgonem wystąpiły u 8,5%; żadnego zgonu nie uznano za związanego z cemiplimabem. irTEAE stopnia ≥3 wystąpiły u 9,7% pacjentów.

Grupy 1–3: TEAE wystąpiły u 99,5% pacjentów, najczęściej zmęczenie, biegunka i nudności. TEAE stopnia ≥3 odnotowano u 49,2%, najczęściej nadciśnienie tętnicze (4,7%). Z powodu TEAE leczenie przerwało 10,4% pacjentów. Najczęstsze irTEAE stopnia ≥3 obejmowały pneumonitis (3,1%) i autoimmunologiczne zapalenie wątroby (1,6%).

Badanie Fung 2026 oceniało skuteczność i toksyczność terapii cemiplimabem u pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry w warunkach środowiskowej praktyki onkologicznej (Community Oncology Practice). Zidentyfikowano 36 pacjentów leczonych cemiplimabem z powodu miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka kolczystokomórkowego skóry (CSCC) w ośrodku autorów. Populacja badana, obejmująca 26 mężczyzn i 10 kobiet, miała medianę wieku wynoszącą 76,9 ± 10,6 roku. W grupie znajdowało się 35 pacjentów rasy kaukaskiej i 1 pacjent pochodzenia latynoskiego. Mediana okresu obserwacji w całej grupie pacjentów leczonych cemiplimabem wyniosła 32,9 ± 18,4 miesiąca, przy zakresie od 3,7 do 61,1 miesiąca. Mediana liczby podanych dawek cemiplimabu wyniosła 8 (SD ±6,3; zakres: 2–39), natomiast mediana czasu leczenia cemiplimabem wyniosła 5,2 miesiąca (±5,6 miesiąca). U 22/36 pacjentów (61, 1%) uzyskano całkowitą remisję, u 10 (27,8%) częściową odpowiedź, u 3 (8,3%) stabilizację choroby, natomiast u 1 pacjenta (2,8%) wystąpiła progresja choroby. W całej grupie nie określono mediany przeżycia wolnego od progresji (PFS).

Łącznie 21 pacjentów (58,3%) pozostawało bez nawrotu choroby przez cały okres obserwacji. Większość pacjentów, u których uzyskano remisję (19/21; 90,5%), mogła planowo zakończyć leczenie zgodnie z wcześniej opublikowaną strategią. Kolejnych 12 pacjentów (33,3%) żyło z utrzymującym się CSCC.

Zgony spowodowane progresją CSCC występowały rzadko. W okresie badania 1 pacjent (2,8%) zmarł z powodu CSCC. Należy zaznaczyć, że w tej populacji osób w podeszłym wieku 2 dodatkowych pacjentów (5,6%) zmarło z przyczyn niezwiązanych z chorobą nowotworową. Jeden pacjent nadal otrzymywał cemiplimab, a jednego pacjenta utracono z obserwacji.

Do badania z rzeczywistej praktyki klinicznej Khelef 2024 dotyczącego czasu trwania leczenia cemiplimabem u pacjentów z zaawansowanym rakiem kolczystokomórkowym skóry, którzy uzyskali całkowitą odpowiedź na leczenie włączono łącznie 46 pacjentów. Kryteria kwalifikacji obejmowały rozpoznanie miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego cSCC, leczenie cemiplimabem niezależnie od linii terapii oraz zakończenie leczenia cemiplimabem z powodu uzyskania całkowitej odpowiedzi (CR). Ze względu na rzeczywisty charakter badania (real-world study) nie stosowano ujednoliconych kryteriów zakończenia terapii ani standaryzowanych kryteriów CR. Mediana czasu leczenia wyniosła 11,2 miesiąca [6,4–12,8], natomiast mediana czasu do uzyskania CR wyniosła 6,1 miesiąca [3,1–8,8]. Po uzyskaniu CR leczenie kontynuowano przez medianę 3,1 miesiąca [1,7–6]. Po medianie okresu obserwacji wynoszącej 17 miesięcy CR utrzymywała się u wszystkich pacjentów.

W badaniu Verkerk 2024 cemiplimab stosowano w leczeniu miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka kolczystokomórkowego skóry wykorzystano prospektywne dane z praktyki klinicznej z programu DRUG Access Protocol. Mediana czasu leczenia wyniosła 26,0 tygodni (95% CI: 21,3–32,1). Zarówno wśród pacjentów z potwierdzoną odpowiedzią obiektywną, jak i wszystkich pacjentów z odpowiedzią obiektywną, mediana czasu trwania odpowiedzi (DoR) nie została osiągnięta do daty odcięcia danych. Po 24 miesiącach od pierwszego stwierdzenia odpowiedzi nadal utrzymywała się ona u 65,2% (95% CI: 41,0–100) pacjentów z potwierdzoną odpowiedzią oraz u 58,0% (95% CI: 36,1–93,2) wszystkich pacjentów z odpowiedzią. Przy medianie okresu obserwacji wynoszącej 15,2 miesiąca, mediana PFS wyniosła 12,2 miesiąca (95% CI: 7,0–NR), a mediana OS 24,2 miesiąca (95% CI: 18,8–NR). Prawdopodobieństwo PFS i OS po 24 miesiącach wynosiło odpowiednio 39,9% (95% CI: 40,4–52,4) i 52,8% (95% CI: 43,4–64,2). Mediana czasu do zakończenia korzyści klinicznej wyniosła 17,2 miesiąca (95% CI: 11,2–NR).

W wytycznych klinicznych Europaen consensus 2026, NCCN 2026, NIO 2024, PTD 2024, PTOK 2022, SIOG 2023 nie odniesiono się do schematu leczenia proponowanego wraz ze zmianami. W wytycznych SITC 2022 wskazano, iż brak jest danych dotyczących optymalnego czasu trwania leczenia inhibitorami punktów kontrolnych układu immunologicznego) u pacjentów z zaawansowaną chorobą nowotworową. Niemniej jednak zazwyczaj zaleca się kontynuowanie terapii przez co najmniej 1–2 lata, z możliwością jej zakończenia po pewnym czasie w przypadku uzyskania całkowitej odpowiedzi na leczenie.

Wytyczne nie odnoszę bezpośrednio do kontroli podczas obserwacji chorych, u których leczenie cemiplimabem zostało czasowo zawieszone. Ogółem wskazuje się, iż częstotliwość monitorowania powinna być uzależniona od ryzyka potencjalnego nawrotu. Wśród wymienianych badań wskazuje się na: badanie

dermatologiczne i dermoskopowe, badanie przedmiotowe, USG, czy CT, MRI, PET/CT. Dodatkowo zaznacza się konieczność samokontroli pacjenta.

<u>Problem ekonomiczny</u>

Zgodnie z przeprowadzonymi oszacowaniami w przypadku chorych spełniających kryteria przerwania leczenia, w horyzoncie analizy wygenerowane zostaną oszczędności budżetowe w wysokości ok. [redacted] w roku I, ok. [redacted] w roku II oraz ok. [redacted] w roku III. Głównym czynnikiem obniżającym koszt programu lekowego będzie niższy koszt terapii cemiplimabem, stwierdzono również istotny wpływ ograniczenia kosztów podania.
Koszt monitorowania obrazowego związany jest z oszczędnościami wynoszącymi od. 27 tys. w roku I do ok. 108 tys. w roku III analizy. Koszt ryczałtu diagnostycznego, ze względu na brak odmiennej wyceny, nie ulegnie zmianie.
Przeprowadzona analiza wpływu na budżet związana jest z ograniczeniami, tj. z przyjęciem arbitralnych założeń, przeprowadzoną prognozą liczby chorych włączanych do programu lekowego, stabilnością cen w horyzoncie 3-letnim, a także niepewnością dot. przyszłego rynku terapii w programie lekowym B.125. W obliczeniach nie uwzględniono także prawdopodobnego powrotu części chorych na terapię, co może ograniczyć oszczędności przedstawione w opracowaniu.
Należy także podkreślić, [redacted]

<u>Główne argumenty decyzji:</u>

- *Dowody naukowe wskazują na zasadność proponowanego postępowania.*
- *Możliwe obniżenie kosztów dla płatnika publicznego.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: DRTM.4121.2.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.125. »Leczenie pacjentów chorych na kolczystokomórkowego raka skóry (ICD-10: C44.12, C44.22, C44.32, C44.42, C44.52, C44.62, C44.72, C44.82, C44.92)«”, data ukończenia: 29 października 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Regeneron Ireland Designated Activity Company).*

***Zakres wyłączenia jawności**: dane objęte oświadczeniem Regeneron Ireland Designated Activity Company 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**: Regeneron Ireland Designated Activity Company.*

Opinia Rady Przejrzystości nr 144/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancje czynne niwolumabum + relatlimabum w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancje czynne niwolumabum + relatlimabum, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego wynikających z zapisów programu lekowego B.59 „Leczenie chorych na czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD 10: C43)", polegających na usunięciu z kryteriów kwalifikacji do leczenia terapią skojarzoną niwolumabem z relatlimabem wymogu ekspresji PD-L1 < 1 %.

Uzasadnienie

<u>Problem decyzyjny</u>

Oceniana zmiana w programie B.59 dotyczy usunięcia kryterium „potwierdzenie ekspresji PD-L1 < 1% na komórkach nowotworu (dotyczy terapii niwolumabem z relatlimabem)" jako warunku kwalifikacji do stosowania terapii niwolumabem w skojarzeniu z relatlimabem (Opdualag) w pierwszej linii leczenia zaawansowanego czerniaka (stadium III nieresekcyjny lub IV). Zmiana ta sprawia, że aktualne zastosowanie terapeutyczne leku wykracza poza wskazania określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL), stanowiąc procedurę typu off-label. Zmiana oznaczałaby finansowanie leczenia niwolumabem + relatlimabem w populacji szerszej niż populacja objęta pozwoleniem na dopuszczenie do obrotu.

Czerniak jest agresywnym nowotworem, którego częstość występowania w Polsce stale rośnie; zaawansowana postać choroby dotyczy ok. 1,5-1,6 tys. pacjentów rocznie. W leczeniu zaawansowanego czerniaka standardem są obecnie nowoczesne terapie immunologiczne, w tym niwolumab w skojarzeniu z relatlimabem. Pomimo postępów terapeutycznych, rokowanie

u pacjentów z zaawansowanym czerniakiem pozostaje niekorzystne i jest silnie związane z obecnością przerzutów.

Dowody naukowe

Badanie RELATIVITY-047 objęło 714 wcześniej nieleczonych pacjentów z nieoperacyjnym lub przerzutowym czerniakiem, niezależnie od ekspresji PD-L1. PD-L1 stanowił czynnik stratyfikacji, a 41% uczestników miało PD-L1 ≥1%.

W populacji ITT niwolumab + relatlimab istotnie wydłużał PFS względem niwolumabu, natomiast w końcowej analizie OS różnica nie osiągnęła założonego progu istotności statystycznej.

Aktualizacja 4-letnia RELATIVITY-047 (Lipson 2025) potwierdziła utrzymywanie się korzyści klinicznej terapii skojarzonej niezależnie od ocenianej ekspresji PD-L1. Jednak mimo korzystnego trendu w zakresie polepszenia punktów końcowych związanych z przeżyciem w wyniku terapii niwolumabem i relatlimabem, oznaczenie PD-L1 nie zostało wykazane jako istotny biomarker predykcyjny skuteczności tej terapii względem samego niwolumabu.

Wytyczne kliniczne

Wytyczne kliniczne nie są w pełni zgodne w zakresie kryterium PD-L1 <1%. Część z nich wspiera jego zniesienie (NCCN 2026 i EADO 2024), natomiast dokumenty podtrzymujące ograniczenie odwołują się m.in. do zapisów rejestracyjnych i refundacyjnych (ESMO 2024, Sekcja Immunoonkologii PTO 2025, PTOK/PTO 2025), jednocześnie wskazując na niepełne uzasadnienie lub potrzebę dalszej oceny jego przydatności. Całościowo dane z wytycznych przemawiają za ponowną oceną zasadności utrzymania tego kryterium w PL B.59.

Rekomendacje refundacyjne

Spośród ośmiu odnalezionych rekomendacji refundacyjnych (NICE 2024, SMC 2024, CDA-AMC 2024, HAS 2024, ZIN 2024, Medicinrådet 2025, IQWiG 2026 i NCPE 2026), trzy agencje (NICE, SMC i CDA-AMC) dopuściły stosowanie niwolumabu z relatlimabem bez ograniczenia do pacjentów z ekspresją PD-L1 < 1%, natomiast pozostałe oceny uwzględniały to kryterium głównie ze względu na zakres wskazania rejestracyjnego EMA. Jedynie HAS uzasadniała ograniczenie do chorych z PD-L1 < 1% przesłankami klinicznymi opartymi na analizie podgrup.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W analizie przyjęto roczny horyzont czasowy oraz uwzględniono wyłącznie koszty zakupu leku Opdualag, jego podania i diagnostyki w programie lekowym B.59. Zgodnie z otrzymanymi opiniami eksperckimi przeprowadzono dwukrotnie obliczenia przy założeniu: 100% lub 15% wzrostu liczby pacjentów kwalifikowanych do leczenia NIV+REL.

Przy uwzględnieniu 100% wzrostu populacji docelowej w pierwszym miesiącu założonego horyzontu czasowego, terapię NIV+REL będzie przyjmowało 209 pacjentów (min. 187; maks. 230), a w dwunastym miesiącu – 227 (min. 124; maks. 331). Uwzględnienie proponowanej zmiany w PL B.59 będzie związane ze zwiększeniem wydatków płatnika publicznego [redacted]

Zakładając 15% wzrost populacji docelowej oszacowano, że w pierwszym miesiącu terapia NIV+REL będzie stosowana u 120 pacjentów (min. 108; maks. 132) oraz u 131 w dwunastym miesiącu analizowanego horyzontu czasowego (min. 71; maks. 190). Wprowadzenie proponowanych zmian w zapisach przedmiotowego programu spowoduje wzrost wydatków NFZ o ok. [redacted] *(min.* [redacted] *; maks.* [redacted] *).*

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Niezaspokojona potrzeba medyczna w populacji pacjentów nie kwalifikowanych dotychczas do programu lekowego.*
- *Dostępne dowody wskazują, że PD-L1 nie ma jednoznacznie potwierdzonej wartości jako biomarker predykcyjny dla terapii niwolumabem.*
- *W aktualnym wskazaniu rejestracyjnym FDA, status ekspresji PD-L1 nie stanowi kryterium kwalifikacji do leczenia.*
- *Pozytywne rekomendacje refundacyjne innych agencji (NICE, SMC i CDA-AMC)*
- *Brak jednolitego stanowiska wytycznych klinicznych, z których NCCN 2026 i EADO 2024 wspierają stosowanie terapii bez ograniczenia do PD-L1 <1%, natomiast PTOK i ESMO 2024 zachowują ograniczenie związane z PD-L1.*
- *Trudny do oszacowania wzrost kosztów płatnika publicznego w związku z niepewnością co do wielkości populacji docelowej.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAP.4121.3.2026 „Opracowanie Agencji dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.59 »Leczenie chorych na czerniaka skóry lub błon śluzowych (ICD-10 C43)«", data ukończenia: 28.10.2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Bristol-Myers Squibb Services sp. z o. o.).*

***Zakres wyłączenia jawności**: dane objęte oświadczeniem Bristol-Myers Squibb Services 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**: Bristol-Myers Squibb Services sp. z o. o.*

Opinia Rady Przejrzystości nr 145/2026 z dnia 2 listopada 2026 roku w sprawie zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów dotyczących wczesnego wykrywanie wad wzroku u dzieci

Rada Przejrzystości uważa za zasadne finansowanie w ramach programów polityki zdrowotnej:

1. *badania przesiewowego wzroku (np. badanie ostrości widzenia przy użyciu tablic Snellena, ocena położenia i ruchomości gałek ocznych, ocena widzenia barw),*
2. *badania diagnostycznego/pogłębionego wzroku (np. badania refrakcji obiektywnej przy użyciu autorefraktometru po porażeniu akomodacji, badania przedniego odcinka i dna oka, badania ciśnienia wewnątrzgałkowego),*
3. *działań informacyjno-edukacyjnych skierowanych do dzieci, rodziców lub opiekunów prawnych dzieci, wychowawców szkolnych/nauczycieli w zakresie ograniczenia używania ekranów, znaczenia wysiłku na świeżym powietrzu, odpowiedniej długości snu w prewencji chorób oczu,*

pod następującymi warunkami:

1. *działania podejmowane w programach profilaktycznych będą prowadzone przez wykwalifikowany personel,*
2. *program powinien finansować również badania pogłębione,*
3. *objęcie programem co najmniej dzieci przed pójściem do przedszkola i przed rozpoczęciem szkoły podstawowej.*

Uzasadnienie

<u>Problem zdrowotny</u>

Jedną z najczęstszych przyczyn zaburzeń widzenia są wady wzroku. Oprócz wad refrakcji u dzieci mogą występować inne, równie istotne

i potencjalnie groźne schorzenia gałki ocznej, takie jak zaćma wrodzona, zez czy siatkówczak. Choroby te mogą być skutecznie leczone, pod warunkiem ich wczesnego rozpoznania. Zaburzenia widzenia barw polegają na ograniczonej zdolności rozróżniania poszczególnych kolorów.

Agencja do dnia 30.04.2026 roku, zgodnie z trybem określonym w Ustawie o świadczeniach, wydała 36 opinii dotyczących PPZ z zakresu profilaktyki i wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci, w tym 31 warunkowo pozytywnych oraz 5 opinii negatywnych. Do weryfikacji założeń zgromadzonych projektów PPZ włączono najnowszych 20 projektów PPZ z lat 2022-2025. Ze względu na duże zróżnicowanie poszczególnych planów interwencyjnych obejmujących badania przesiewowe wzroku u dzieci (rodzaje testów lub badań wzroku wykonywanych podczas badań przesiewowych), nie jest możliwe przedstawienie ujednoliconego podejścia do planowanych interwencji w omawianym problemie zdrowotnym. Wyjątek stanowią badania ostrości wzroku za pomocą tablic optotypów (np. tablice Snellena) oraz badania refrakcji obiektywnej za pomocą autorefraktometru lub skiaskopii. Innym równie często występującym elementem badania przesiewowego była ocena widzenia barw np. testem Ishihary. Ponadto wszystkie z ocenianych projektów uwzględniały wykrywanie zeza, czy to podczas badania ustawienia lub ruchomości gałek ocznych czy też badania widzenia obuocznego lub badania autorefraktometrem. W analizowanych projektach edukacja realizowana była głównie w formie pogadanek lub spotkań grupowych oraz materiałów edukacyjnych tj. ulotki, plakaty, broszury czy filmy edukacyjne (12 PPZ). Dodatkowo część interwencji edukacyjnych była częściowo lub w całości prowadzona przez Internet tj. webinary czy udostępnione za pomocą serwisów internetowych materiały edukacyjne (6 PPZ).

Wszystkie analizowane programy skierowane były do dzieci lub młodzieży szkolnej. Ponad połowa programów zakładała prowadzenie działań do dzieci przed rozpoczęciem szkoły podstawowej lub w I klasie (5-7 lat). Interwencjami z zakresu edukacji, w ramach analizowanych projektów PPZ, objęci byli najczęściej rodzice lub opiekunowie dzieci oraz same dzieci. Część interwencji edukacyjno-informacyjnych skierowana była również do nauczycieli, wychowawców i innej kadry pedagogicznej.

<u>Rekomendowane i nierekomendowane technologie medyczne, działania, warunki realizacji</u>

Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 28 października 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z podstawowej opieki zdrowotnej (Dz.U. 2023 poz. 1427 z późn. zm.), w ramach POZ dostępne są profilaktyczne badania lekarskie (zwane bilansem zdrowia), w ramach których lekarz wykonuje testy ukierunkowane na identyfikację u dzieci w określonym wieku poszczególnych wad wzroku. Omawiany bilans realizowany jest na różnych etapach życia

dziecka, przez różny personel. Interwencje, na poszczególnych etapach życia dziecka, mogą być wykonywane przez: lekarza POZ, pielęgniarkę podstawowej opieki zdrowotnej, położną podstawowej opieki zdrowotnej, pielęgniarkę lub higienistkę szkolną. Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz.U. 2016 poz. 357 z późn. zm.), w ramach AOS dostępne jest: poradnictwo specjalistyczne w zakresie okulistyki dla dzieci, poradnictwo specjalistyczne w zakresie leczenia zeza, które mogą być wykorzystane do wstępnej lub dalszej diagnostyki zaburzeń wzroku. Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej (Dz.U. 2023 poz. 1427 z późn. zm.) porady patronażowe oraz badania bilansowe, w tym badania przesiewowe dostępne są w ramach POZ dzieciom w:

- *1–4 tygodniu życia – porada patronażowa;*
- *2–6 miesiącu życia – w terminach odpowiadających szczepieniom ochronnym;*
- *9 miesiącu życia;*
- *12 miesiącu życia;*
- *wieku 2 lat;*
- *wieku 4 lat;*
- *wieku 5 lat (u dziecka nieodbywającego rocznego obowiązkowego przygotowania przedszkolnego);*
    - *rocznym obowiązkowym przygotowaniu przedszkolnym (w przypadku niewykonania badania w terminie testy przesiewowe wykonuje się w klasie I szkoły podstawowej);*
    - *III klasie szkoły podstawowej (w przypadku braku promocji do następnej klasy nie wykonuje się powtórnie testów przesiewowych);*
    - *I klasie gimnazjum (w przypadku braku promocji do następnej klasy nie wykonuje się powtórnie testów przesiewowych);*
    - *I klasie szkoły ponadgimnazjalnej (w przypadku braku promocji do następnej klasy nie wykonuje się powtórnie testów przesiewowych);*
    - *ostatniej klasie szkoły ponadgimnazjalnej do ukończenia 19 roku życia.*

Ustawa z dnia 17 sierpnia 2023 r. o niektórych zawodach medycznych (Dz.U. 2023 poz. 1972 z późn. zm.) określiła zasady wykonywania nowych zawodów medycznych w tym optometrysty oraz ortoptysty. Na zlecenie Ministra Zdrowia, Agencja oceniła zasadność zakwalifikowania świadczenia „Porada optometryczna" jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej wraz z opracowaniem warunków realizacji świadczenia. Prezes Agencji wydał rekomendację nr 156/2025 z dnia 29 października 2025 r. rekomendującą zakwalifikowanie porady optometrycznej jako świadczenia gwarantowanego z zakresu AOS.

<u>Dowody naukowe</u>

Eksperci są zgodni co do potrzeby lepszej profilaktyki wad wzroku u dzieci niż ta zapewniana w ramach badań bilansowych uwzględnionych w świadczeniach gwarantowanych. Autorzy metaanalizy Roque 2026 wskazują, że autorefraktory i fotoscreenery bez zastosowania cykloplegii systematycznie niedoszacowują nadwzroczności i przeszacowują krótkowzroczność, szczególnie u młodszych dzieci i oczu nadwzrocznych (Roque 2026).

Pomiar stosunku długości osiowej gałki ocznej do promienia rogówki, odznacza się precyzją diagnostyczną w wykrywaniu krótkowzroczności na poziomie: czułość – 88%; swoistość – 89%, przy czym dołączenie do ww. badania pomiaru ostrości wzroku zwiększa czułość jak i swoistość do 90%. Dodanie do pomiaru stosunku długości osiowej gałki ocznej do promienia rogówki badania autorefrakcji niecykloplegicznej zwiększa czułość i swoistość wykrycia krótkowzroczności odpowiednio do 93% i 94% (Song 2026b). Badanie przesiewowe w kierunku wykrywania zeza z wykorzystaniem fotoskreeningu z użyciem urządzenia plusoptix S04, odznacza się precyzją diagnostyczną na poziomie: czułość – 46%; swoistość – 97% (Hull 2017). Wyniki badań wskazują na znaczenie przebywania na świeżym powietrzu w celu profilaktyki występowania krótkowzroczności (Dhakal 2021, Kido 2024, Mei 2024, Li 2024). Wyniki przeglądu Ge 2026 wskazują, że ćwiczenia oparte na akomodacji i trening wzroku mogą być związane z poprawą niektórych wskaźników związanych z krótkowzrocznością u dzieci i młodzieży. Wśród badań zaobserwowano względnie stałą poprawę w funkcjach wzroku i wskaźnikach akomodacji, takich jak nieskorygowana ostrość wzroku, dynamiczna ostrość wzroku i sprawność akomodacji (Ge 2026). Inne badania również wskazują na pozytywne znaczenie interwencji w postaci wysiłku fizycznego w profilaktyce wad wzroku u dzieci (Ren 2026, Weng 2026). Istotne w prewencji chorób narządu wzroku jest również: ograniczenie spędzania czasu przed ekranem (Ha 2025, Ding 2025), prawidłowa długość snu (Dong 2024, Ding 2025).

Na podstawie przeglądu systematycznego Jonas 2017, eksperci z USPSTF wskazali potencjalne szkody wynikające z badania przesiewowego wzroku u dzieci w wieku od 3 do 5 lat, w tym:

- *możliwość występowania częstszych wyników fałszywie dodatnich w populacjach o niskiej chorobowości, które mogą prowadzić do nadmiernego diagnozowania i leczenia;*
- *szkody psychologiczne, takie jak niepokój dziecka lub rodzica, podczas terapii niedowidzenia metodą okluzyjną, wykrytego w ramach przesiewu (USPSTF 2017).*

W ramach rekomendacji klinicznych poruszone zostały kwestie ryzyka ominięcia lub niewłaściwej diagnozy związane z organizacją programów przesiewowych, np.:

- *ze względu na ograniczony sprzęt, zdolności diagnostyczne, niedostatecznie przeszkolony personel czy zastosowane systemy i procesy (WHO 2023);*
- *wykorzystania nieodpowiednich tablic optotypów (AAO 2022, APP 2016).*

Natomiast do potencjalnych szkód związanych z kompleksowym badaniem wzroku i oka u dzieci wskazano:

- *niepokój pacjenta lub rodzica/opiekuna związany z procedurami diagnostycznymi bądź wynikającą z nich diagnozą;*
- *niepożądane reakcje w obrębie narządu wzroku i/lub reakcje ogólnoustrojowe, i/lub przejściowe zaburzenia widzenia wynikające z przeprowadzanego badania, bądź też reakcje alergiczne na zastosowane diagnostyczne produkty farmaceutyczne lub materiały;*
- *nierozpoznanie lub błędne zdiagnozowanie problemów ze zdrowiem oczu bądź wzrokiem.*

Odnalezione wytyczne wskazują na zasadność prowadzenia działań edukacyjno-informacyjnych dotyczących higieny wzroku oraz problemów ze wzrokiem (WHO 2025, AOA 2021, ESO 2021, WHO 2020, AOA 2017). Wyżej wymienione działania mogą być prowadzone w formie: sesji informacyjnych i pogawędek, plakatów, ulotek oraz edukacji indywidualnej podczas badania przesiewowego (WHO 2025, WHO 2023, AOA 2021).

Organizacje wskazują, że w kontekście czynników ryzyka rozwoju krótkowzroczności coraz większą uwagę zwraca się na zachowania związane ze stylem życia uwarunkowanym przez współczesne warunki środowiskowe takie jak zbyt długa praca do bliży, nadmierne korzystanie ze smartfonów i laptopów oraz coraz krótszy czas spędzany na świeżym powietrzu w ciągu dnia (PTO 2021a, AOA 2021, ESO 2021, IMI 2021a, IMI 2021b, WHO 2020, AOA 2017). Organizacje podkreślają znaczenie zwiększenia aktywności fizycznej na świeżym powietrzu jako działania prewencyjnego i mogącego znacząco spowolnić progresję krótkowzroczności (PTO 2021a, AOA 2021, ESO 2021, IMI 2021a, IMI 2021b, WHO 2020, AOA 2017). Autorzy rekomendacji są zgodni, co do zasadności prowadzenia badań wzroku w populacji pediatrycznej, jednakże docelowy harmonogram prowadzenia badań przesiewowych oraz zalecany zakres badań nie został jednoznacznie określony.

Szkolenia dla personelu wykonującego przesiewowe badania wzroku powinny obejmować zarówno wiedzę teoretyczną, jak i umiejętności praktyczne związane z badaniem wzroku. Należy również położyć nacisk na identyfikację wszelkich sygnałów ostrzegawczych wymagających skierowania na pełne badanie okulistyczne. Ponadto należy zaznajomić personel zarówno ze sprzętem do badań przesiewowych, który ma być używany, jak i ze standardowymi procedurami operacyjnymi programu, obejmującymi pełną dokumentację wyników, gromadzenie danych i zarządzanie skierowaniami (WHO 2025, WHO 2023, AAO 2022). UK NSC 2019 zaleca, aby osoby przeprowadzające badania przesiewowe

wzroku u dzieci odbywały coroczne szkolenie e-learningowe w tym zakresie. (UK NSC 2019). Ponadto WHO podkreśla, że wszystkie osoby przeprowadzające badanie przesiewowe powinny mieć ciągły dostęp do pomocy specjalistów, jeżeli jest to wymagane oraz ciągłą kontrolę jakości, aby zapewnić przestrzeganie standardów i wytycznych (WHO 2025).

Działania profilaktyczne ukierunkowane na problematykę krótkowzroczności wśród dzieci w wielu przypadkach okazują się być kosztowo efektywne. Przykładowo, użytecznym kosztowo działaniem okazała się być kompleksowa profilaktyka krótkowzroczności z wykorzystaniem technologii cyfrowych. Pomimo danych sugerujących wysoką opłacalność działań profilaktycznych ukierunkowanych na krótkowzroczność wśród dzieci i młodzieży, omawianie wyniki należy interpretować z ostrożnością. Przedstawione szacunki pochodzą z teoretycznych modeli ekonomicznych, przy czym zdecydowana większość publikacji pochodziła z Chin (de Millano 2025).

Autorzy publikacji wskazują, że dostępna literatura nt. efektywności kosztowej prowadzenia przesiewu wad wzroku wśród dzieci jest zbyt zróżnicowana pod względem analizowanych interwencji oraz jakości. Uniemożliwia to jednoznaczne wytyczenie efektywnych ekonomicznie działań z tego zakresu. Nieprecyzyjne dane nt. faktycznego wpływu poszczególnych problemów zdrowotnych na jakość życia oraz różnice w założeniach analiz również utrudniają wykazanie dokładnych wartości ekonomicznych (Asare 2021).

<u>Opcjonalne technologie medyczne</u>

W trakcie prac analitycznych odnaleziono informacje odnoszące się do alternatywnych metod prowadzenia działań profilaktycznych prowadzonych w kierunku wad wzroku wśród dzieci i młodzieży. W ramach odnalezionych wtórnych dowodów naukowych, aktualnie obowiązujących wytycznych klinicznych oraz opinii ekspertów klinicznych, możliwymi metodami profilaktyki są: badania przesiewowe, działania informacyjno-edukacyjne, aktywność fizyczna, działania z zakresu modyfikacji stylu życia.

W ramach odnalezionych rekomendacji towarzystw naukowych często podkreślana jest istota realizacji badań przesiewowych ukierunkowanych na wady wzroku wśród dzieci i młodzieży. Argumentem przemawiającym za wdrożeniem tego typu interwencji jest wpływ omawianej grupy chorób na jakość życia i funkcjonalność dziecka. Jednakże dostępne dowody nie są zgodne pod kątem docelowego schematu przesiewowego. Dostępne rekomendacje wskazują skrajnie szeroki wachlarz możliwych do realizacji badań przesiewowych i diagnostycznych m.in.: badania ostrości wzroku z użyciem wystandaryzowanych tablic, cover test, test czerwonych odblasków, ocenę widzenia obuocznego, badanie refrakcji po porażeniu

akomodacji, badanie ośrodków/dna oka, badanie źrenic, ocenę fiksacji i śledzenia, test Hirschberga, pomiar długości osiowej oka.

<u>Wskaźniki monitorowania i ewaluacji</u>

W ramach raportu analitycznego wskaźniki monitorowania i ewaluacji zaktualizowano na podstawie otrzymanych opinii ekspertów klinicznych oraz rekomendacjach Prezesa AOTMiT.

<u>Główne argumenty decyzji</u>

- *Postępowanie profilaktyczne zgodne z rekomendacjami oraz wynikami badań naukowych.*
- *Działania prawdopodobnie związane z efektywnością kosztową.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48aa ust. 1, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3a 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 zalecanych technologii medycznych, działań przeprowadzanych w ramach programów polityki zdrowotnej oraz warunków realizacji tych programów nr: DPPZ.452.2.2026 „Wczesne wykrywanie wad wzroku u dzieci"; data ukończenia: październik 2026 r.