



WYKAZ TECHNOLOGII LEKOWYCH O WYSOKIM POZIOMIE INNOWACYJNOŚCI Z DNIA 10 MARCA 2026 ROKU

Na podstawie art. 40a ust. 2 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.), ustala się na dzień 10 marca 2026 r. wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności określony w załączniku.

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczyk

/dokument podpisany elektronicznie/

Załącznik

I. Wykaz technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

Lp.	Nazwa leku	Substancja czynna	Oceniane wskazanie
1	Augtyro	repretrektylib	w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP)
2	Duvyzat	giwinostat	w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne'a (ang. Duchenne muscular dystrophy, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami
3	Ezmekly	mirdametylib	w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłóknaków spłotowatych (ang. plexiform neurofibromas, PN) u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1 (NF1)
4	Maapliv	roztwór aminokwasów niezawierających BCAA	w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA)
5	Sephience	sepiapteryna	w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenyloketonurią (PKU)
6	Tryngolza	olezarsen	do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS)
7	Voranigo	worasydenib	w monoterapii, w leczeniu gwiazdziaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszej, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, 2 u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii
8	Vyjuvek	beremagene geperpawek	w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia
9	Ziihera	zanidatamab	w monoterapii, w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego

II. Populacja docelowa oraz szczegółowe warunki stosowania technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności

1. Augtyro (repotrektynib) we wskazaniu: w monoterapii, w leczeniu dorosłych pacjentów z ROS1-dodatnim, zaawansowanym niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP).

Populacja docelowa

Dorośli pacjenci z zaawansowanym ROS1-dodatnim niedrobnokomórkowym rakiem płuca (NDRP).

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

- Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą: celulozę mikrokrystaliczną, sodu laurylosiarczan, kroskarmelozę sodową, krzemionkę koloidalną bezwodną, magnezu stearynian (tylko w przypadku kapsułek twardych 160 mg), żelatynę, tytanu dwutlenek (E171), błękit brylantowy (E133 – tylko w przypadku kapsułek twardych 160 mg), szelak (E904), indygokarmin (E132).
- Nie należy stosować produktu leczniczego Augtyro u pacjentów z umiarkowanymi lub ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby.
- Nie należy stosować produktu leczniczego Augtyro w okresie ciąży, chyba że stan kliniczny kobiety wymaga leczenia repotrektynibem.
- Nie wiadomo, czy repotrektynib lub jego metabolity przenikają do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć ryzyka dla karmionego piersią dziecka. Należy przerwać karmienie piersią w trakcie leczenia produktem leczniczym Augtyro i przez 10 dni po przyjęciu ostatniej dawki.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- morfologia krwi z rozmazem;
- histologiczne lub cytologiczne potwierdzenie określonego typu niedrobnokomórkowego raka płuca zgodnie z kryteriami kwalifikacji chorych;
- potwierdzenie obecności rearanżacji w genie ROS1 na podstawie zwalidowanego testu wykonywanego w laboratorium posiadającym aktualny certyfikat programu kontroli jakości dla danego testu;
- oznaczenie stężenia bilirubiny;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy asparaginianowej;
- oznaczenie stężenia kreatyniny;
- oznaczenie poziomu fosfatazy zasadowej (ALP);
- oznaczenie poziom wapnia, magnezu i potasu w surowicy;
- elektrokardiografia (EKG).

Badania w trakcie leczenia:

- morfologia krwi z rozmazem;
- oznaczenia stężenia kreatyniny;
- oznaczenie stężenia bilirubiny;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy asparaginianowej;
- oznaczenie stężenia kreatyniny;
- oznaczenie poziomu fosfatazy zasadowej (ALP);
- oznaczenie poziom wapnia, magnezu i potasu w surowicy;

- elektrokardiografia (EKG).

Pacjentów podczas leczenia należy monitorować pod kątem:

- występowania nowych lub nasilających się objawów płucnych wskazujących na śródmiąższową chorobę płuc (ang. *interstitial lung disease*, ILD) / stan zapalny płuc;
- przedmiotowych lub podmiotowych objawów złamań (np. ból, zmiany ruchomości, deformacje);
- nasilenia działań niepożądanych ze strony OUN (ośrodkowego układu nerwowego).

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii:

- przeżycie całkowite (ang. *overall survival*, OS);
- zmiany od wartości wyjściowej w wynikach kwestionariuszy EORTC-QLQ-C30 i QLQ-LC13;
- przeżycie wolne od progresji (ang. *progression-free survival*, PFS);
- wskaźnik obiektywnej odpowiedzi (ang. *objective response rate*, ORR);
- czas trwania odpowiedzi (ang. *duration of response*, DOR);
- czas do uzyskania odpowiedzi (ang. *time to response*, TTR);
- wskaźnik korzyści klinicznej (ang. *clinical benefit rate*, CBR);
- wewnątrzczaszkowy wskaźnik obiektywnych odpowiedzi (ang. *intracranial objective response rate*, IC-ORR) – u pacjentów z przerzutami do OUN;

Oczekiwane korzyści zdrowotne

Korzyści zdrowotne w populacji pacjentów z ROS1+ NDRP (nieleczonych uprzednio inhibitorami kinazy tyrozynowej (TKI) / leczonych uprzednio TKI):

- oczekiwana mediana OS [mies.]: min. 25;
- brak obniżenia jakości życia w stosunku do stanu wyjściowego lub jego polepszenie;
- oczekiwana mediana PFS [mies.]: min. 35,5 / 9;
- oczekiwany ORR [%]: min. 79 / 38;
- oczekiwana mediana DOR [mies.]: min. 34 / 14,5;
- oczekiwana mediana TTR [mies.]: min. 1,5;
- oczekiwany CBR [%]: min. 94 / 79;
- oczekiwany IC-ORR [%]: min. 89 / 38.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

2. **Duwyzat (giwinostat) we wskazaniu: w leczeniu dystrofii mięśniowej Duchenne’a (ang. *Duchenne muscular dystrophy*, DMD) u pacjentów chodzących, w wieku 6 lat i starszych, i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami.**

Populacja docelowa

Chodzący pacjenci, w wieku 6 lat i starsi z dystrofią mięśniową Duchenne’a i podczas jednoczesnego leczenia kortykosteroidami.

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą (polisorbat 20 (E432); glicerol (E422); tragakanta (E413); sodu benzoian (E211); aromat brzoskwiniowy: naturalne substancje aromatyzujące, substancje aromatyzujące, glikol propylenowy (E1520); aromat śmietankowy: naturalne substancje aromatyzujące, substancje aromatyzujące, glikol propylenowy (E1520); sacharyna sodowa (E954); sorbitol ciekły (E420); kwas winowy (E334); sodu wodorotlenek

(E524); woda oczyszczona);

Dziedziczna nietolerancja fruktozy (sorbitol zawarty w produkcie leczniczym może wpływać na biodostępność innych, podawanych równocześnie drogą doustną, produktów leczniczych).

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- Badanie genetyczne potwierdzające dystrofię mięśniową Duchenne'a.
- Badanie spektroskopii rezonansu magnetycznego pod kątem oceny frakcji tłuszczu w mięśniu obszernym bocznym (VL MFF).
- Badanie EKG (u pacjentów z chorobą serca lub przyjmujących jednocześnie leki wydłużające odstępn QT).
- Badania laboratoryjne:
 - pełna morfologia krwi;
 - biochemiczne krwi (m.in. ALT, AST, bilirubina całkowita, cystatyna C, kinaza keratynowa, trójglicerydy, TSH);
 - badanie ogólne moczu;
 - badania diagnostyczne - antygen HBs (WZW typu B), anty-HCV oraz HIV.
- Pomiar masy ciała oraz wzrostu.
- Ocena funkcjonalna:
 - czas i ocena stopnia trudności wejścia po 4 schodach standardowej wysokości (4SC) (sekundy) – 2 testy;
 - czas podniesienia się z podłogi (TTR) (sekundy);
 - siła mięśniowa oceniana na podstawie wyprostu kolana i zgięcia łokcia, mierzona za pomocą ręcznego miometru (HHM);
 - ocena w skali NSAA;
 - dystans w teście 6-minutowego marszu (6MWT);
 - czasu przejścia 10 metrów (10MWR) (sekundy);
 - ocena jakości życia w skali PODCI.

Badania w trakcie leczenia:

- a) Badania laboratoryjne:
 - morfologia krwi (m.in. liczba płytek krwi, hemoglobina) - co 2 tygodnie przez pierwsze 2 miesiące leczenia, w 3. miesiącu, a następnie co 3 miesiące (u pacjentów, u których dawkę zwiększono w związku ze zwiększeniem masy ciała, należy dokładnie monitorować liczbę płytek krwi co 2 tygodnie przez pierwsze 2 miesiące po zwiększeniu dawki);
 - biochemiczne krwi (m.in. ALT, AST, bilirubina całkowita, cystatyna C, kinaza keratynowa, trójglicerydy, TSH) – raz w miesiącu przez pierwsze 3 miesiące, a następnie co 3 miesiące;
 - ogólne badanie moczu – w 2. i 3. miesiącu leczenia, a następnie co 3 miesiące.
- b) Pomiar masy ciała i wzrostu – w 1. i 4. tygodniu 1. miesiąca leczenia, w 2. i 3. miesiącu leczenia, a następnie co 3 miesiące.
- c) EKG pod kątem oceny wydłużenia odstępu QTc – w przypadku wskazań klinicznych.
- d) Badanie spektroskopii rezonansu magnetycznego pod kątem oceny frakcji tłuszczu w mięśniu przyśrodkowym uda (VL MFF) – po 12 miesiącach leczenia, a następnie co 6 miesięcy.
- e) Ocena funkcjonalna (4SC, TTR, HHM, NSAA, 6MWT, 10MWR) – co 3 miesiące.
- f) Ocena jakości życia (PODCI) – po 12 miesiącach leczenia, a następnie co 6 miesięcy.
- g) Występowanie działań niepożądanych - w 1. i 4. tygodniu 1. miesiąca leczenia, w 2. i 3. miesiącu leczenia, a następnie co 3 miesiące.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- Czas wejścia po 4 schodach standardowej wysokości (ang. *time to climb 4 standard-sized stairs*, 4SC) (sekundy).

- Stopień trudności wejścia po czterech schodach (4SC) pod kątem adaptacji funkcjonalnej – 6-stopniowa skala.
- Czas podniesienia się z podłogi (ang. *time to rise from floor*, TTR) (sekundy).
- Przebycie dystansu w teście 6-minutowego marszu (ang. *six-minute walking test*, 6MWT) – pomiar odległości, jaką pacjent jest w stanie szybko pokonać na płaskiej, twardej powierzchni w ciągu 6 minut.
- Ocena w skali NSAA (ang. *North Star Ambulatory Assessment*).
- Skumulowana średnia utrata funkcji w skali NSAA.
- Siła mięśniowa oceniana na podstawie wyprostowania kolana i zgięcia łokcia, mierzona za pomocą ręcznego miomietru (ang. *hand-held myometry*, HHM).
- Frakcja tłuszczowa mięśnia obłego bocznego (ang. *vastus lateralis muscle fat fraction*, VL MFF).
- Czasu potrzebnego do przejścia 10 metrów (ang. *time to walk 10 meters*, 10MWR) (sekundy).
- Jakość życia oceniana za pomocą Narzędzia do Gromadzenia Danych Dotyczących Wyników Leczenia Dzieci (ang. *Paediatric Outcomes Data Collection Instrument*, PODCI).

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Oczekiwane zmiany po 18 miesiącach leczenia:
 - zmiana w zakresie jakości życia badanej w skali PODCI: nie większa niż o -4,5 pkt.;
 - zmiana w teście 4SC: nie większa niż o 1,31 s;
 - zmiana LS w teście TTR: nie większa niż o 9,3 s;
 - zmiana LS w teście 6MWT: nie większa niż o -38,4 m;
 - zmiana LS wyniku NSAA: nie większa niż o -2,7 pkt.;
 - zmiana LS wyniku HHM w zakresie wyprostowania kolana: nie większa niż o -0,32 N/kg;
 - zmiana LS wyniku HHM w zakresie zgięcia łokcia: nie większa niż o -0,10 N/kg;
 - zmiana LS wyniku VL FF: nie większa niż o 7,63;
 - zmiana w teście 10MWR: nie większa niż o 0,87 s.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

3. Ezmekly (mirdametynib) we wskazaniu: w leczeniu objawowych, nieoperacyjnych nerwiakowłókniaków splotowatych u dorosłych pacjentów i dzieci w wieku 2 lat i starszych z neurofibromatozą typu 1

Populacja docelowa

Pacjenci powyżej 2 r.ż. z objawowymi, nieoperacyjnymi nerwiakowłókniakami splotowatymi (PN) w przebiegu neurofibromatozy typu 1 (NF1).

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

- Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą: celuloza mikrokryształiczna, kroskarmeloza sodowa, magnezu stearynian; kapsułka: żelatyna, tytanu dwutlenek, żelaza tlenek żółty, błękit brylantowy, potasu wodorotlenek, glikol propylenowy, szelak, tytanu dwutlenek; tabletka: sukraloza, suszony syrop glukozowy, naturalny aromat, modyfikowana skrobia kukurydziana, triacetyna.
- Nie należy stosować produktu leczniczego Ezmekly w okresie ciąży ani u kobiet w wieku rozrodczym niestosujących antykoncepcji.
- Nie wiadomo, czy mirdametynib lub jego metabolity przenikają do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć ryzyka dla dziecka karmionego piersią, dlatego należy przerwać karmienie piersią

podczas leczenia produktem Ezmekly i nie należy go wznawiać przez 1 tydzień po przyjęciu ostatniej dawki.

- Ze względu na brak dowodów naukowych dotyczących stosowania produktu leczniczego w tej populacji, jako przeciwwskazanie do rozpoczęcia leczenia należałoby rozważyć frakcję wyrzutową lewej komory serca (ang. left ventricular ejection fraction, LVEF) poniżej instytucjonalnej dolnej granicy normy (ang. lower limit of normal, LLN).

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- badanie krwi obejmujące oznaczenie morfologii krwi z rozmazem, lipidogram, ALT, bilirubinę całkowitą, glukozę na czczo;
- kompleksowa ocena okulistyczna;
- ocena frakcji wyrzutowej lewej komory (LVEF) za pomocą echokardiogramu;
- badanie ciśnienia tętniczego krwi;
- test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym.

Badania w trakcie leczenia powinny obejmować monitorowanie pacjentów pod kątem:

- zaburzeń widzenia w regularnych odstępach, w trakcie leczenia oraz za każdym razem, gdy pacjent zgłasza nowe lub nasilające się zmiany widzenia, takie jak niewyraźne widzenie. U pacjentów, u których zdiagnozowano odwarstwienie nabłonka barwnikowego siatkówki (ang. retinal pigment epithelial detachment, RPED) bez pogorszenia ostrości widzenia, leczenie można kontynuować, ale należy przeprowadzać ocenę okulistyczną co 3 tygodnie aż do ustąpienia objawów.
- zmniejszenia frakcji wyrzutowej lewej komory (LVEF) co 3 miesiące w ciągu pierwszego roku, a następnie zgodnie ze wskazaniami klinicznymi.
- występowania jakichkolwiek reakcji skórnych. Ponadto należy mieć na uwadze, iż w związku z toksycznym wpływem na skórę, nie można wykluczyć potencjalnego ryzyka rakotwórczego.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- wskaźnik obiektywnej odpowiedzi (ang. objective response rate, ORR):
 - całkowita odpowiedź (CR) rozumiana jako brak obecności wybranego do oceny PN;
 - odpowiedź częściowa (PR) rozumiana jako zmniejszenie objętości wybranego do oceny leczenia PN o 20% lub więcej w porównaniu z wartością wyjściową.
- jakość życia wg kwestionariusza PedsQL;
- ocena nasilenia bólu wg NRS-11 (ang. Numerical Rating Scale) oraz PII (ang. Pain Interference Index);

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Oczekiwany wskaźnik PR [%]:
 - u pacjentów <18 r.ż. min. 51;
 - u pacjentów >18 r.ż. min. 41.
- Oczekiwana poprawa jakości życia w skali PedsQL.
- Oczekiwane zmniejszenie bólu wg NRS-11 i PII.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

4. **Maapliv (roztwór aminokwasów niezawierających BCAA) we wskazaniu: w leczeniu choroby syropu klonowego (ang. maple syrup urine disease, MSUD) manifestującej się ostrym epizodem dekompensacji u pacjentów od urodzenia, którzy nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (ang. branched-chain amino acid, BCAA).**

Populacja docelowa

Pacjenci z chorobą syropu klonowego (MSUD), którzy doświadczają ostrych epizodów dekompensacji metabolicznej i nie kwalifikują się do doustnego i dojelitowego stosowania preparatów niezawierających aminokwasów rozgałęzionych (BCAA).

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

- Nadwrażliwość na substancje czynne lub na którąkolwiek substancję pomocniczą: kwas octowy lub sodu wodorotlenek.
- Brak danych klinicznych dotyczących stosowania produktu leczniczego Maapliv u kobiet w ciąży. Stosowanie leku Maapliv w okresie ciąży nie jest zalecane, chyba że stan kliniczny pacjentki jednoznacznie wymaga takiego leczenia. W takiej sytuacji konieczne jest przeprowadzenie szczegółowej oceny stosunku korzyści do ryzyka.
- Brak wystarczających danych dotyczących przenikania składników/metabolitów produktu leczniczego Maapliv do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć ryzyka dla noworodków/niemowląt. Lek należy jednak stosować w okresie karmienia piersią wyłącznie po przeprowadzeniu szczegółowej oceny stosunku korzyści do ryzyka.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- ilościowe badanie aminokwasów rozgałęzionych (BCAA) w osoczu – leucyny, izoleucyny i waliny;
- badanie poziomu alloizoleucyny w osoczu;
- analiza poziomu α -ketokwasów w moczu;
- wykonanie testu ciążowego u kobiet w wieku rozrodczym.

Badania w trakcie leczenia:

monitorowanie pacjentów podczas leczenia powinno obejmować ocenę:

- równowagi wodno-elektrolitowej,
- osmolarności surowicy,
- równowagi kwasowo-zasadowej,
- stężenia glukozy we krwi,
- stężenia amoniaku we krwi,
- stężenia białek w surowicy,
- czynności wątroby i nerek.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- normalizacja poziomu leucyny w osoczu do wartości $<380 \mu\text{mol/l}$;
- czas trwania hospitalizacji ogółem;
- czas trwania hospitalizacji – intensywna terapia (ICU);
- ustąpienie klinicznych objawów dekompensacji.

Oczekiwane korzyści zdrowotne

Korzyści zdrowotne w populacji pacjentów z MSUD, u których zastosowano pozajelitową podaż mieszanki niezawierającej BCAA:

- normalizacja poziomu leucyny do wartości $<380 \mu\text{mol/l}$;
- skrócenie czasu hospitalizacji;
- ustąpienie klinicznych objawów dekompensacji metabolicznej.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

5. Sephience (sepiapteryna) we wskazaniu: w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA) u dorosłych i dzieci z fenyloketonurią (PKU).

Populacja docelowa

Dorośli i dzieci z fenyloketonurią (PKU) u których występuje hiperfenyloalaninemia (HPA).

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

Nadwrażliwość na sepiapterynę lub którąkolwiek substancję pomocniczą wymienioną w ChPL (izomalt, celuloza mikrokryształiczna, mannitol, kroskarmeloza sodowa, guma ksantanowa, krzemionka koloidalna, sukraloza, magnezu stearynian).

Dziedziczna nietolerancja fruktozy (ze względu na obecność izomaltu).

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- oznaczanie stężenia fenyloalaniny (Phe) i tyrozyny (Tyr) we krwi;
- wykluczenie pierwotnego niedoboru BH₄;
- diagnostyka różnicowa innych przyczyn hiperfenyloalaninemii (np. inne defekty metaboliczne);
- ocena stanu klinicznego, w tym wywiad dotyczący nietolerancji cukrów;
- badania hematologiczne i biochemiczne (morfologia, parametry nerkowe, wątrobowe, elektrolity, lipidogram, glukoza);
- badanie ogólne moczu;
- EKG;
- pomiary antropometryczne;
- badanie fizykalne, pomiar masy ciała, wzrostu, ciśnienia tętniczego, tętna oraz wywiad lekarza prowadzącego w kierunku charakterystycznych objawów fenyloketonurii;
- wypełnianie standaryzowanych kwestionariuszy jakości życia (PKU-QOL, EQ-5D) przed rozpoczęciem leczenia.

Badania w trakcie leczenia:

Pacjentów podczas leczenia sepiapteryną należy monitorować pod kątem:

- zmiany stężenia fenyloalaniny (Phe) i tyrozyny (Tyr) we krwi (co 1-2 tygodnie w ciągu pierwszych 3 miesięcy, następnie co 4-6 tygodni);
- badania krwi (co 3 miesiące);
- badanie ogólne moczu okresowo w trakcie leczenia;
- prowadzenie dzienniczka diety oraz konsultacje dietetyczne w celu oceny spożycia białka/fenyloalaniny i przestrzegania zaleceń dietetycznych;
- oceny jakości życia (formularze PKU-QOL, EQ-5D).

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- Redukcja $\geq 15\%$ stężenia fenyloalaniny we krwi po 14 dniach leczenia sepiapteryną.
- Średnia zmiana oraz procentowa zmiana poziomu fenyloalaniny (Phe) we krwi od wartości wyjściowej, oceniana w 5. i 6. tygodniu, a następnie co 3 miesiące.
- Odsetek uczestników z wyjściowym stężeniem fenyloalaniny (Phe) $\geq 600 \mu\text{mol/L}$, którzy osiągnęli stężenie Phe $< 600 \mu\text{mol/L}$.

- Odsetek uczestników z wyjściowym stężeniem Phe ≥ 360 $\mu\text{mol/L}$, którzy osiągnęli stężenie Phe < 360 $\mu\text{mol/L}$.
- Średnia zmiana spożycia fenyloalaniny (Phe) względem wartości wyjściowej do 26. tygodnia.
- Ocena jakości życia.

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Stężenie fenyloalaniny we krwi po 14 dniach leczenia sepiapteryną: redukcja $\geq 15\%$.
- U pacjentów z odpowiedzią na leczenie ($\geq 30\%$ redukcji Phe), średnia redukcja stężenia fenyloalaniny po 6 tygodniach: $-410,07$ $\mu\text{mol/L}$.
- Odsetek uczestników z wyjściowym stężeniem fenyloalaniny (Phe) ≥ 600 $\mu\text{mol/L}$, którzy osiągnęli stężenie Phe < 600 $\mu\text{mol/L}$: nie mniej niż 90%.
- Odsetek uczestników z wyjściowym stężeniem Phe ≥ 360 $\mu\text{mol/L}$, którzy osiągnęli stężenie Phe < 360 $\mu\text{mol/L}$: nie mniej niż 80%.
- Średnia zmiana spożycia fenyloalaniny (Phe) względem wartości wyjściowej do 26. tygodnia: nie mniejsza niż 35 mg/kg/dobę (wzrost).
- Poprawa jakości życia mierzona kwestionariuszem EQ-5D (MCID: 6,5 pkt. w wizualnej skali analogowej [VAS]).

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

- 6. Tryngolza (olezarsen) we wskazaniu: jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. *familial chylomicronemia syndrome*, FCS)**

Populacja docelowa

Dorośli pacjenci z genetycznie potwierdzonym zespołem rodzinnej chylomikronemii (ang. *familial chylomicronemia syndrome*, FCS).

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą (diwodorofosforan sodu, wodorofosforan disodu, chlorek sodu, woda do wstrzykiwań, wodorotlenek sodu, kwas solny).

Przed rozpoczęciem stosowania leku Tryngolza należy upewnić się, że stan zdrowia pacjenta – w szczególności w zakresie czynności wątroby, nerek oraz liczby płytek krwi – został odpowiednio oceniony przez specjalistę.

Leku nie należy stosować u dzieci i młodzieży w wieku poniżej 18 lat – brak danych dotyczących bezpieczeństwa i skuteczności w tej grupie wiekowej.

Zaleca się unikanie stosowania leku w okresie ciąży, a kobiety w wieku rozrodczym muszą stosować skuteczną metodę antykoncepcji.

W przypadku karmienia piersią – decyzję o stosowaniu leku lub karmieniu piersią podejmuje lekarz, biorąc pod uwagę korzyści dla matki i dziecka.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- badania genetyczne potwierdzające obecność mutacji powodujących zespół rodzinnej chylomikronemii (FCS);
- wywiad kliniczny dotyczący wcześniejszego leczenia innymi lekami obniżającymi stężenie triglicerydów oraz stosowania diety niskotłuszczowej;
- ocena stężenia triglicerydów we krwi;

- wywiad w kierunku ostrego zapalenia trzustki (zdefiniowanego jako udokumentowana diagnoza ostrego zapalenia trzustki lub hospitalizacja/wizyta na SOR z powodu silnego bólu brzucha zgodnego z ostrym zapaleniem trzustki, bez alternatywnej diagnozy); u pacjentów z przebytymi epizodami konieczne jest określenie średniej liczby takich zdarzeń występujących w ciągu ostatnich 10 lat;
- morfologia krwi z oceną liczby płytek;
- ocena funkcji wątroby (ALT, AST, bilirubina);
- ocena funkcji nerek (eGFR, białkomocz);
- wykluczenie innych istotnych chorób współistniejących (m.in. niekontrolowanego nadciśnienia tętniczego, skazy krwotocznej lub koagulopatii, aktywnego zakażenia HIV, wirusa zapalenia wątroby typu C lub typu B).

Badania w trakcie leczenia:

Pacjentów podczas leczenia olezarsenem należy monitorować pod kątem:

- morfologii krwi: co miesiąc przez pierwsze 6 miesięcy, potem co 3 miesiące lub według decyzji lekarza (szczególnie u pacjentów z wyjściowo niską liczbą płytek lub innymi czynnikami ryzyka);
- prób wątrobowych i funkcji nerek: co 3 miesiące lub częściej, jeśli wystąpią nieprawidłowości;
- stężenia triglicerydów, apoC-III, apoB-48, non-HDL-C: co 3–6 miesięcy lub według potrzeby (ocena skuteczności);
- wystąpienia objawów niepożądanych.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- Procentowa zmiana stężenia triglicerydów na czczo od momentu rozpoczęcia leczenia oceniana co 6. miesięcy.
- Procentowa zmiana stężenia apoC-III na czczo od momentu rozpoczęcia leczenia oceniana co 6. miesięcy.
- Procentowa zmiana stężenia apoB-48 na czczo od momentu rozpoczęcia leczenia oceniana co 6. miesięcy.
- Odsetek uczestników z $\geq 40\%$ spadkiem stężenia triglicerydów na czczo oceniany co 6. miesięcy.
- Procentowa zmiana stężenia non-HDL-C na czczo od momentu rozpoczęcia leczenia oceniana co 6. miesięcy.
- Częstość występowania ostrych przypadków zapalenia trzustki u pacjentów z zapaleniem trzustki w wywiadzie w ciągu 10 lat przed badaniem kwalifikacyjnym.

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Procentowa zmiana stężenia triglicerydów na czczo od wartości wyjściowej do 6. i do 12. miesiąca: spadek o co najmniej 32% oraz 39%.
- Procentowa zmiana stężenia apoC-III na czczo od wartości wyjściowej do 6. i 12. miesiąca: spadek o co najmniej 66% oraz 64%.
- Procentowa zmiana stężenia apoB-48 na czczo od wartości wyjściowej do 6. i 12. miesiąca: spadek o co najmniej 59% i 79%.
- Odsetek uczestników z $\geq 40\%$ spadkiem stężenia triglicerydów na czczo w 6. miesiącu: co najmniej 40,9%.
- Procentowa zmiana stężenia non-HDL-C na czczo od wartości wyjściowej do 6. i 12. miesiąca: spadek o co najmniej 19% i 28%.
- Zmniejszenie częstości występowania ostrych przypadków zapalenia trzustki u pacjentów z zapaleniem trzustki w wywiadzie w ciągu 10 lat przed badaniem kwalifikacyjnym. U pacjentów bez takiego wywiadu – utrzymanie braku ostrych epizodów zapalenia trzustki.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

7. **Voranigo (worasydenib) we wskazaniu: w monoterapii, leczenie gwiaździaka lub skąpodrzewiaka stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego u dorosłych i młodzieży w wieku co najmniej 12 lat, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii.**

Populacja docelowa

Dorośli i młodzież w wieku co najmniej 12 lat, o masie ciała wynoszącej co najmniej 40 kg, z gwiaździakiem lub skąpodrzewiakiem stopnia 2., z mutacją IDH1 R132 lub IDH2 R172, bez istotnego wzmocnienia kontrastowego, u których przeprowadzono jedynie interwencję chirurgiczną i którzy nie wymagają natychmiastowej radioterapii ani chemioterapii.

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

- nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą;
- ciąża lub karmienie piersią (należy przerwać karmienie piersią w trakcie leczenia i przez co najmniej 2 miesiące po przyjęciu ostatniej dawki leku);
- wartość eGFR ≤ 40 ml/min/1,73 m² pc. lub konieczność stosowania dializ;
- dziedziczna nietolerancja galaktozy, brak laktazy lub zespół złego wchłaniania glukozy-galaktozy.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- histologiczne potwierdzenie obecności gwiaździaka lub skąpodrzewiaka;
- potwierdzenie mutacji w genie IDH1 R132 lub IDH2 R172 z użyciem zwalidowanej metody diagnostycznej;
- morfologia krwi;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej we krwi;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy asparaginianowej we krwi;
- oznaczenie aktywności gammaglutamylotransferazy we krwi;
- oznaczenie aktywności fosfatazy alkalicznej;
- oznaczenie stężenia bilirubiny całkowitej we krwi;
- oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi;
- oznaczenie stężenia albumin;
- oznaczenie stężenia glukozy we krwi;
- oznaczenie stężenia elektrolitów we krwi (w tym sodu, potasu, wapnia i magnezu);
- czas częściowej tromboplastyny po aktywacji, czas protrombinowy lub międzynarodowy współczynnik znormalizowany (INR);
- konsultacja neurologiczna;
- pomiar masy ciała;
- test ciążowy (u kobiet w wieku rozrodczym);
- badanie ogólne moczu;
- badanie MR.

Wstępne badania obrazowe muszą umożliwić późniejszą obiektywną ocenę odpowiedzi na leczenie wg aktualnych kryteriów RANO-LGG.

Badania w trakcie leczenia:

W trakcie leczenia, co dwa tygodnie przez pierwsze 2 miesiące, następnie raz w miesiącu przez pierwsze 2 lata leczenia, a następnie, jeśli jest to wskazane klinicznie, wykonuje się:

- morfologię krwi;

- oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej we krwi;
- oznaczenie aktywności aminotransferazy asparaginianowej we krwi;
- oznaczenie aktywności gammaglutamylotransferazy we krwi;
- oznaczenie stężenia bilirubiny całkowitej we krwi;
- oznaczenie aktywności fosfatazy alkalicznej;
- oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi;
- oznaczenie stężenia albumin;
- oznaczenie stężenia glukozy we krwi;
- oznaczenie stężenia elektrolitów we krwi (w tym sodu, potasu, wapnia i magnezu).

Niektórzy pacjenci mogą wymagać częstszego i ciągłego monitorowania.

Raz w miesiącu należy przeprowadzić:

- konsultację neurologiczną;
- pomiar masy ciała;
- test ciążowy (u kobiet w wieku rozrodczym).

Badania monitorujące bezpieczeństwo leczenia należy wykonać zawsze w przypadku wskazań klinicznych.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- progresja choroby, potwierdzona radiograficznie, oceniona według zmodyfikowanych kryteriów RANO-LGG;
- przeżycie całkowite (OS) i czas do progresji (PFS);
- wskaźnik odpowiedzi obiektywnych (ORR) tj. odsetek pacjentów z odpowiedzią na leczenie w postaci całkowitej odpowiedzi (CR) lub częściowej odpowiedzi (PR);
- wskaźnik wzrostu guza (TGR), zdefiniowany jako procentowa zmiana objętości guza w trakcie leczenia;
- wskaźnik napadów padaczkowych (na pacjenta/rok);
- ocena jakości życia wg skali FACT-Br.

Badanie MR należy wykonywać co 3 miesiące, następnie (od 37. cyklu) co 6 miesięcy przez 2 lata, a następnie co roku.

Oczekiwane korzyści zdrowotne

Oczekiwane korzyści w 14-miesięcznym okresie obserwacji:

- odsetek pacjentów osiągających obiektywną odpowiedź na leczenie (ORR) nie mniejszy niż 10,7%.

Oczekiwane korzyści w 20-miesięcznym okresie obserwacji:

- oczekiwana mediana przeżycia wolnego od progresji (PFS): min. 27,7 miesięcy;
- wskaźnik wzrostu guza (TGR): procentowe zmniejszenie objętości guza o nie mniej niż 1,3%;
- brak znaczącego pogorszenia jakości życia wg skali FACT-Br (wartość zbliżona do wartości wyjściowych);
- wskaźnik wystąpienia napadów padaczkowych nie większy niż 18,2 na rok.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

8. **Vyjuvek (beremagene geperpavec) we wskazaniu: w leczeniu ran u pacjentów z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1) od urodzenia**

Populacja docelowa

Pacjenci z dystroficznym pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) z mutacją (-ami) w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1), od urodzenia.

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

- Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą: glicerol, sodu chlorek, disodu fosforan, potasu chlorek, dipotasu fosforan, hypromelozę, trometamol.
- Nie należy stosować produktu leczniczego Vyjuvek do ran z potwierdzonym lub podejrzanym rozpoznaniem raka płaskonabłonkowego (ang. squamous cell carcinoma, SCC). Produkt leczniczy Vyjuvek może być nadal stosowany na inne rany u pacjentów, u których rozwinie się SCC.
- Nie zaleca się stosowania produktu leczniczego Vyjuvek w okresie ciąży.
- Nie wiadomo, czy beremagene geperpavec przenika do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć zagrożenia dla noworodków/dzieci. Należy podjąć decyzję, czy przerwać karmienie piersią lub przerwać/wstrzymać podawanie produktu leczniczego Vyjuvek, biorąc pod uwagę korzyści z karmienia piersią dla dziecka i korzyści z leczenia dla matki.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- potwierdzenie DEB na podstawie testów genetycznych, w tym mutacji w genie łańcucha alfa 1 kolagenu typu VII (COL7A1);
- test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym;
- badanie przedmiotowe z oceną całej skóry pod kątem występowania raka płaskonabłonkowego (SCC).

Badania w trakcie leczenia obejmujące monitorowanie pacjentów pod kątem wystąpienia:

- raka płaskonabłonkowego (SCC) skóry;
 - przedmiotowych i podmiotowych objawów zakażenia.
- Oczekuje się, że pacjenci wezmą udział w wielonarodowym badaniu nieinterwencyjnym oceniającym długoterminowe bezpieczeństwo stosowania beremagene geperpavec w warunkach rzeczywistych.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- Jakość życia:
 - zmiana nasilenia bólu rany (według wizualnej skali analogowej, VAS) u uczestników w wieku ≥ 6 lat w 22., 24. i 26. tygodniu podczas zmiany opatrunku;
 - zmiana nasilenia bólu rany (według skali FLACC-R) u dzieci w wieku < 6 lat w 22., 24. i 26. tygodniu podczas zmiany opatrunku.
- Całkowite wygojenie rany po 6 miesiącach (całkowite zamknięcie rany w 22. i 24. tygodniu lub w 24. i 26. tygodniu).
- Całkowite wygojenie rany po 3 miesiącach (całkowite zamknięcie rany w 8. i 10. tygodniu lub w 10. i 12. tygodniu).
- Trwałość odpowiedzi (całkowite wygojenie rany potwierdzone podczas co najmniej 2 kolejnych wizyt, oddzielonych 2-tygodniowym odstępem).

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Oczekiwane zmniejszenie nasilenia bólu ran wg skali VAS / FLACC-R.
- Oczekiwane odsetki aktywnie leczonych ran:
 - osiagających całkowite wygojenie po 6 miesiącach [%]: min. 67;
 - osiagających całkowite wygojenie po 3 miesiącach [%]: min. 70;
 - z trwałą odpowiedzią [%]: min. 49.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

9. Ziihera (zanidatamab) we wskazaniu: w monoterapii, w leczeniu osób dorosłych z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego

Populacja docelowa

Dorośli z nieresekcyjnym, miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym HER2 dodatnim (IHC 3+) rakiem dróg żółciowych (RDŻ), u których wcześniej stosowano co najmniej jedną linię leczenia ogólnoustrojowego.

Szczegółowe warunki stosowania

Dawkowanie, droga podania, sposób podawania, czas stosowania, modyfikacje dawki

Zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL).

Przeciwwskazania

Nadwrażliwość na substancję czynną (zanidatamab) lub na którąkolwiek substancję pomocniczą wymienioną w punkcie 6.1 ChPL.

Lek nie powinien być stosowany u dzieci i młodzieży.

Monitorowanie

Badania przed rozpoczęciem leczenia:

- Potwierdzenie statusu HER2 dodatniego guza (wynik 3+ w ocenie immunohistochemicznej, wykonanej przy użyciu wyrobu medycznego do diagnostyki in vitro z oznakowaniem CE lub alternatywnego, zwalidowanego testu).
- Badania obrazowe (CT/MRI) w celu oceny zaawansowania choroby zgodnie z RECIST 1.1.
- Badanie obrazowe mózgu (MRI lub CT, jeśli MRI niewykonalne) – w przypadku podejrzenia przerzutów do OUN.
- Ocena czynności lewej komory serca (LVEF) – przed rozpoczęciem leczenia należy wykonać echokardiogram lub angiografię bramkową z zastosowaniem radionuklidu (MUGA).
- Badania laboratoryjne:
 - Morfologia krwi z rozmazem.
 - Koagulogram (PT, INR, aPTT).
 - Biochemia (kreatynina, mocznik/BUN, AST, ALT, fosfataza zasadowa, LDH, bilirubina, albumina, białko całkowite, elektrolity, glukoza, kwas moczowy, wapń, magnez, tryptaza).
 - Badanie ogólne moczu.
- Testy serologiczne: HBsAg, przeciwciała anti-HCV, test na HIV.
- Test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym.

Badania w trakcie leczenia:

Pacjentów podczas leczenia zanidatamabem należy monitorować pod kątem:

- Regularne badania obrazowe (CT/MRI) co 8 tygodni (± 7 dni) w celu oceny odpowiedzi na leczenie wg RECIST 1.1.
- Badania laboratoryjne (morfologia, koagulogram, biochemia, badanie ogólne moczu) – co 2 tygodnie w pierwszych cyklach, następnie co 4 tygodnie lub według wskazań klinicznych.
- Echokardiografia/MUGA – przed cyklem 3, a następnie co 3 cykle (co 12 tygodni).
- EKG – okresowo, zgodnie z harmonogramem lub w razie wskazań klinicznych.
- Ocenę jakości życia (EQ-5D-5L) i bólu (BPI) – co 8 tygodni.
- Monitorowanie pod kątem reakcji związanych z wlewem.
- Monitorowanie objawów zapalenia płuc.

Dane gromadzone w rejestrze

Wskaźniki oceny efektywności terapii

- Przeżycie całkowite (ang. *overall survival*, OS) – czas od podania pierwszej dawki badanego leczenia do daty zgonu z jakiegokolwiek przyczyny;
- Przeżycie wolne od progresji (ang. *progression free survival*, PFS) – czas od podania pierwszej

dawki do momentu stwierdzenia progresji choroby lub zgonu z jakiegokolwiek przyczyny;

- Potwierdzony wskaźnik obiektywnej odpowiedzi (ang. *confirmed objective response rate*, cORR);
- Czas trwania odpowiedzi (ang. *duration of response*, DoR) określony jako czas od pierwszej potwierdzonej odpowiedzi (CR lub PR) do udokumentowanej progresji choroby lub śmierci z jakiegokolwiek przyczyny;
- Jakość życia – ocena na początku badania (*baseline*, BL) oraz co 8 tygodni obejmowała:
 - o skróconą wersję Kwestionariusza Krótkiego Opisu Bólu (Brief Pain Inventory),
 - o wizualną skalę analogową (VAS),
 - o stosowanie opioidowych leków przeciwbólowych.

Oczekiwane korzyści zdrowotne

- Potwierdzony wskaźnik obiektywnej odpowiedzi (cORR): 51,6% (95% CI: 38,6–64,5).
- Odpowiedź całkowita (CR): 4,8%.
- Odpowiedź częściowa (PR): 46,8%.
- Mediana czasu trwania odpowiedzi (DoR): 14,9 miesiąca (95% CI: 7,4–24,0).
- Mediana całkowitego czasu przeżycia (OS): 18,1 miesiąca (95% CI: 12,2–22,9).
- Mediana przeżycia wolnego od progresji (PFS): 8 miesięcy.

Dodatkowe dane:

Dodatkowe dane do rejestru*.

III. *Dodatkowe dane do rejestru

1) dane osobowe dotyczące usługobiorcy:

- a) imię (imiona) i nazwisko,
- b) płeć,
- c) obywatelstwo,
- d) wykształcenie,
- e) numer PESEL, a w przypadku osób, które nie mają nadanego numeru PESEL - seria i numer paszportu albo innego dokumentu stwierdzającego tożsamość, albo niepowtarzalny identyfikator nadany przez państwo członkowskie Unii Europejskiej dla celów transgranicznej identyfikacji, o którym mowa w rozporządzeniu wykonawczym Komisji (UE) 2015/1501 z dnia 8 września 2015 r. w sprawie ram interoperacyjności na podstawie art. 12 ust. 8 rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) nr 910/2014 w sprawie identyfikacji elektronicznej i usług zaufania w odniesieniu do transakcji elektronicznych na rynku wewnętrznym,
- f) datę urodzenia,
- g) adres miejsca zamieszkania lub adres do korespondencji,
- h) kod gminy krajowego rejestru urzędowego podziału terytorialnego kraju TERYT,
- i) numer telefonu kontaktowego,
- j) datę i przyczynę zgonu;

2) jednostkowe dane medyczne dotyczące usługobiorcy obejmujące:

- a) podstawowe parametry:
 - o powierzchnia ciała,
 - o waga,
 - o wskaźnik masy ciała BMI,
 - o parametry laboratoryjne,

- b) stan zdrowia w chwili postawienia diagnozy:
 - czynniki prognostyczne,
 - indeks prognostyczny,
 - choroby współistniejące,
- c) datę rodzaj i wynik wykonanych badań diagnostycznych oraz nazwy technologii medycznych,
- d) rozpoznanie choroby - główne i współistniejące:
 - datę rozpoznania choroby,
 - kod choroby według wybranej i obowiązującej w rejestrze klasyfikacji,
- e) datę i rodzaj leczenia:
 - datę, rodzaj i tryb wdrożonej terapii,
 - nazwę produktu leczniczego lub wyrobu medycznego lub procedury medycznej lub schematu leczenia,
 - datę zakończenia leczenia,
 - przyczynę zakończenia leczenia,
 - aspekty chirurgiczne,
 - interwencje przedoperacyjne,
 - parametry operacyjne.
- f) dodatkowe efekty zdrowotne:
 - przeżycie całkowite (OS),
 - działania niepożądane (AE),
- 3) identyfikator usługodawcy, o którym mowa w art. 17c ust. 3 pkt 1 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz. U. z 2023 r. poz. 2465z późn. zm.);
- 4) identyfikator miejsca udzielania świadczeń opieki zdrowotnej, o którym mowa w art. 17c ust. 4 pkt 1 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz. U. z 2023 r. poz. 2465 z późn. zm.);
- 5) identyfikator pracownika medycznego, o którym mowa w art. 17c ust. 5 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 r. o systemie informacji w ochronie zdrowia (Dz. U. z 2023 r. poz. 62465 z późn. zm.), który:
 - wprowadził dane do rejestru,
 - wykonał dane świadczenie opieki zdrowotnej;
- 6) identyfikator usługodawcy nadany przez Narodowy Fundusz Zdrowia.