



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
Wydział Oceny Technologii Medycznych

Romvimza (wimsełtynib)

we wskazaniu:

**leczenie dorosłych pacjentów z objawowym guzem
olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang.
tenosynovial giant cell tumour, TGCT) związanym
z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania
fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia
chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne
powikłania lub niepełnosprawność**

Opracowanie analityczne

Załącznik do Raportu oceny technologii o wysokiej innowacyjności
w ramach Funduszu Medycznego na rok 2026

Nr: OTLI.425.1.2025.22

Data ukończenia: 20.02.2026

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy - nie dotyczy.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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), art. 35 ust. 4a – 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)².

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy: nie dotyczy.

Zakres wyłączenia jawności: informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (t.j. Dz. U. 2022 r., poz. 902 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (t.j. Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców – nie dotyczy.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)¹ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)².

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej – nie dotyczy.

Zakres wyłączenia jawności: dane osobowe.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust.1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych) (Dz. U. UE.L. z 2016 r.119.1).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy.

¹ podstawa prawna zakreślonych danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)

² podstawa prawna zakreślonych w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)

Wykaz wybranych skrótów

ALAT	aminotransferaza alaninowa (ang. <i>alanine aminotransferase</i>)
ASCO	ang. <i>American Society of Clinical Oncology</i>
ASPAT	aminotransferaza asparaginianowa (ang. <i>aspartate aminotransferase</i>)
BPI	Skrócony Inwentarz Bólu (ang. <i>Brief Pain Inventory</i>)
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CI	przedział ufności (ang. <i>confidence interval</i>)
CPK	fosfokinaza kreatynowa (ang. <i>creatine phosphokinase</i>)
CR	odpowiedź całkowita (ang. <i>complete response</i>)
CSF1	czynnik stymulujący kolonie 1 (ang. <i>colony stimulating factor 1</i>)
CSF1R	receptor czynnika stymulującego kolonie 1 (ang. <i>colony stimulating factor 1 receptor</i>)
EBRT	radioterapia wiązką zewnętrzną (ang. <i>external beam radiation therapy</i>)
EMA	Europejska Agencja Leków (ang. <i>European Medicines Agency</i>)
EPAR	ang. <i>European Public Assessment Report</i>
EQ-VAS	Skala Wizualno-Analogowa EuroQol (ang. <i>EuroQol – Visual Analogue Scale</i>)
ESMO	Europejskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (ang. <i>European Society for Medical Oncology</i>)
FAERS	ang. <i>FDA Adverse Event Reporting System</i>
FDA	Agencja Żywności i Leków (ang. <i>Food and Drug Administration</i>)
G-BA	niem. <i>Gemeinsamer Bundesausschuss</i>
GFR	wskaźnik przesączania kłębuszkowego (ang. <i>glomerular filtration rate</i>)
HBV	wirus zapalenia wątroby typu B (ang. <i>hepatitis B virus</i>)
HCV	wirus zapalenia wątroby typu C (ang. <i>hepatitis C virus</i>)
HIV	ludzki wirus niedoboru odporności (ang. <i>human immunodeficiency virus</i>)
LLN	dolna granica normy (ang. <i>lower limit of normal</i>)
LS	metoda najmniejszych kwadratów (ang. <i>least squares</i>)
NCCN	ang. <i>National Comprehensive Cancer Network</i>
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i>
NRS	Numeryczna Skala Oceny (ang. <i>Numeric Rating Scale</i>)
ORR	odsetek obiektywnych odpowiedzi (ang. <i>objective response rate</i>)
PD	progresja choroby (ang. <i>progressive disease</i>)
PR	odpowiedź częściowa (ang. <i>partial response</i>)
PRO	wyniki raportowane przez pacjentów (ang. <i>patient reported outcomes</i>)
PROMIS-PF	System Pomiaru Wyników zgłaszanych przez Pacjentów – Funkcja Fizyczna (ang. <i>Patient-reported Outcomes Measurement Information System-Physical Function</i>)
PSURs	okresowe raporty o bezpieczeństwie stosowania (ang. <i>periodic safety update reports</i>)
PTOK	Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej
RECIST 1.1	ang. <i>Response Evaluation Criteria in Solid Tumors, version 1.1</i>
ROM	zakres aktywnego ruchu (ang. <i>range of motion</i>)
SAE	poważne zdarzenie niepożądane (ang. <i>serious adverse event</i>)

SD	choroba stabilna (ang. <i>stable disease</i>)
TEAE	zdarzenie niepożądane zaistniałe w trakcie leczenia (ang. <i>treatment-emergent adverse event</i>)
TGCT	guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i>)
TVS	wskaźnik objętości guza (ang. <i>tumor volume score</i>)
UE	Unia Europejska
ULN	górna granica normy (ang. <i>upper limit of normal</i>)
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia (ang. <i>World Health Organisation</i>)
ZIN	nl. <i>Zorginstituut Nederland</i>

Spis treści

Wykaz wybranych skrótów.....	3
Spis treści	5
Podsumowanie.....	7
1. Przedmiot analizy.....	8
1.1. Informacje podstawowe	8
1.2. Szczegółowe warunki stosowania	9
1.2.1. Przeciwwskazania	9
1.2.2. Diagnostyka.....	9
1.2.2.1. Diagnostyka przy kwalifikacji.....	9
1.2.2.2. Monitorowanie	9
1.3. Podsumowanie przedmiotu analizy	10
2. Ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej.....	11
2.1. Problem zdrowotny	11
2.2. Rekomendacje i wytyczne kliniczne	12
2.3. Przegląd wcześniejszych ocen AOTMiT	13
2.4. Analiza dostępności opcji terapeutycznych w Polsce.....	13
2.5. Podsumowanie oceny niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej	13
3. Wielkość populacji docelowej.....	15
3.1. Szacowanie wielkości populacji.....	15
3.1.1. Opis metodyki.....	15
3.1.2. Wyniki oszacowań.....	15
3.2. Podsumowanie szacowania populacji	15
4. Dowody naukowe.....	16
4.1. Wyszukiwanie dowodów naukowych.....	16
4.2. Opis badań	17
4.2.1. Opis komparatora.....	19
4.2.2. Opis punktów końcowych.....	19
4.3. Kryteria populacji docelowej	20
4.4. Ocena jakości badań	20
4.5. Podsumowanie materiału dowodowego	20
5. Ocena siły interwencji.....	21
5.1. Ocena skuteczności klinicznej	21
5.2. Ocena bezpieczeństwa stosowania	23
5.3. Ograniczenia analizy klinicznej	24
5.4. Podsumowanie siły interwencji	25
6. Ocena wpływu na budżet	26
6.1. Oszacowanie kosztów interwencji i komparatora	26

6.1.1.	Założenia	26
6.1.2.	Wyniki	26
6.2.	Wpływ na budżet Funduszu Medycznego.....	27
6.2.1.	Założenia	27
6.2.2.	Wyniki	27
6.3.	Przegląd opublikowanych analiz HTA	27
6.4.	Ograniczenia oceny wpływu na budżet.....	28
6.5.	Podsumowanie oceny wpływu na budżet	28
7.	Przegląd rekomendacji refundacyjnych	29
8.	Źródła.....	30
9.	Załączniki	31
9.1.	Rekomendacje i wytyczne kliniczne	31
9.2.	Strategia wyszukiwania.....	32
9.3.	Diagram selekcji publikacji	33
9.4.	Kryteria populacji docelowej	34
9.5.	Ocena jakości badań	36
9.6.	Strategia wyszukiwania HTA.....	36
9.7.	Diagram selekcji publikacji HTA.....	37

Podsumowanie

1. Niezaspokojona potrzeba zdrowotna

- Opcje terapeutyczne zalecane przez wytyczne obejmują peksydartynib, imatynib, nilotynib oraz wimsełtynib.
- Aktualnie w Polsce, w przedmiotowym wskazaniu, żadna z powyższych technologii nie jest refundowana – w praktyce klinicznej możliwe jest jedynie zastosowanie radioterapii.

2. Siła interwencji (wimsełtynib vs placebo)

- Skuteczność:
 - jakość życia (oceniana w 25. tygodniu): w zakresie skali wizualno-analogowej EQ-VAS, funkcjonowania fizycznego (ang. *Patient-Reported Outcomes Measurement Information System-Physical Function*, PROMIS-PF), oceny sztywności stawów oraz bólu (ang. *Brief Pain Inventory*, BPI) odnotowano istotnie statystyczną poprawę w ramieniu wimsełtynibu w porównaniu z placebo;
 - ORR wg RECIST v1.1 (oceniany w 25. tygodniu): 40% vs 0% ($p < 0,0001$):
 - CR: 5% vs 0%;
 - PR: 35% vs 0%;
 - SD: 51% vs 82%;
 - zakres ruchomości stawu (ang. *range of motion*, ROM) (oceniany w 25. tygodniu): istotnie statystyczna poprawa w ramieniu wimsełtynibu w porównaniu z placebo;
 - CR wg RECIST v1.1 (oceniany w otwartej fazie badania w 97. tygodniu): wimsełtynib – 23%.
- Bezpieczeństwo
 - TEAE stopnia 3./4. związane z leczeniem: 30% vs 3%;
 - SAE: 7% vs 3%;
 - TEAE prowadzące do modyfikacji dawki: 57% vs 5%;
 - nie odnotowano TEAE prowadzących do zgonu;
 - najczęściej występujące TEAE uznane za związane z wimsełtynibem: obrzęk okołoczołowy (43%), obrzęk twarzy (30%), zmęczenie (33%), świąd (27%) i astenia (25%).

3. Jakość dowodów naukowych

- Ogólne ryzyko błędu systematycznego oceniono jako niskie (wg narzędzia RoB dla badań RCT).
- Do głównych ograniczeń badania należy:
 - Krótki okres trwania badania – wnioskowanie dotyczące skuteczności oraz bezpieczeństwa ocenianej technologii jest ograniczone.
 - Populacja badania charakteryzowała się wysoką heterogenicznością, wynikającą z włączenia zarówno pacjentów z postacią zlokalizowaną choroby, jak i chorych z bardziej agresywną postacią rozlaną.
 - W badaniu stratyfikację przeprowadzono w oparciu o lokalizację guza oraz regionu geograficznego, nie uwzględniono natomiast kategorii wielkości guza, co przy wysoce heterogenicznej populacji mogło mieć wpływ na wiarygodność wyników.
 - Widoczne, łatwe do rozpoznania zdarzenia niepożądane występujące na skórze (obrzęki, wysypka) mogły naruszać zaślepienie badania, co z kolei mogło wpłynąć na raportowane wyniki dotyczące jakości życia.

4. Wielkość populacji docelowej

- Szacowana populacja w pierwszym roku: 120 (100 – 140).
- Szacowana populacja w drugim roku: 130 (110 – 150).

1. Przedmiot analizy

1.1. Informacje podstawowe

Tabela 1. Charakterystyka ocenianego produktu leczniczego

Nazwa handlowa, postać i dawka, opakowanie	Romvimza 14 mg, kapsułki twarde, opakowanie 8 kaps. Nr GTIN: brak. Romvimza 20 mg, kapsułki twarde, opakowanie 8 kaps. Nr GTIN: brak. Romvimza 30 mg, kapsułki twarde, opakowanie 8 kaps. Nr GTIN: brak.
Substancja czynna	Wimseltynib
Oceniane wskazanie	Produkt leczniczy Romvimza jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i> , TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność. Kod ICD-10: D48.1, M12.2 Kod ICD-11: 2F7Y, XH6911 Kod ORPHA: 66627
Pozostałe zarejestrowane wskazania	Brak
Dawkowanie	Zalecana dawka to 30 mg przyjmowane dwa razy na tydzień w odstępie co najmniej 72 godzin, dopóki obserwuje się korzyści lub do czasu wystąpienia nieakceptowalnej toksyczności.
Droga podania	Podanie doustne
Mechanizm działania	Wimseltynib jest selektywnym, drobnocząsteczkowym inhibitorem kinazy tyrozynowej, który blokuje receptor czynnika stymulującego wzrost kolonii 1 (CSF1R). Oś sygnalizacyjna CSF1/CSF1R odgrywa kluczową rolę w rozwoju TGCT. Swoje działanie przeciwnowotworowe wywiera poprzez deplecję zależnych od CSF1R makrofagów i komórek zapalnych. Hamowanie receptora CSF1R prowadzi do redukcji liczby komórek Kupffera w wątrobie, co skutkuje obniżeniem klirensu enzymów takich jak ASPAT, ALAT i CPK w krwioobiegu. W konsekwencji obserwuje się zwiększoną aktywność tych enzymów w surowicy.
Grupa ATC	Grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwnowotworowe, inhibitory kinazy białkowej, kod ATC: L01EX29
Status leku sierocego	Tak Nr: EU/19.03.2227 z dnia 16.12.2019 r.
Warunki dopuszczenia do obrotu	Lek posiada oznaczenie czarnego trójkąta, czyli produktu podlegającego dalszemu, dodatkowemu monitorowaniu oraz wymaga przedkładania dodatkowych okresowych raportów o bezpieczeństwie jego stosowania (ang. <i>Periodic Safety Update Reports</i> , PSURs).
Data dopuszczenia do obrotu	Data dopuszczenia do obrotu: 17.09.2025 r. Nr dopuszczenia do obrotu: Romvimza 14 mg: EU/1/25/1968/001 (8 kapsulek twardych); Romvimza 20 mg: EU/1/25/1968/002 (8 kapsulek twardych); Romvimza 20 mg: EU/1/25/1968/003 (8 kapsulek twardych).
Podmiot odpowiedzialny	Deciphera Pharmaceuticals (Netherlands) B.V. Atrium Building 4th Floor Strawinskylaan 3051 1077 ZX, Amsterdam Holandia

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie ChPL Romvimza, https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/romvimza-epar-product-information_pl.pdf [dostęp: 19.12.2025] oraz EPAR Romvimza, https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/romvimza-epar-public-assessment-report_en.pdf [dostęp: 19.12.2025].

Produkt leczniczy Romvimza (wimseltynib) jest selektywnym, drobnocząsteczkowym inhibitorem kinazy tyrozynowej, który blokuje receptor czynnika stymulującego wzrost kolonii 1 (CSF1R). W guzach olbrzymiokomórkowych pochewki ścięgna (TGCT) dochodzi do nadmiernej produkcji białka CSF1, co prowadzi do proliferacji komórek zapalnych, sprzyjając rozrostowi guza. Poprzez blokadę CSF1R wimseltynib hamuje sygnalizację CSF1, a w konsekwencji ogranicza wzrost guza i łagodzi objawy choroby. W Polsce nie ma obecnie dostępnych refundowanych opcji terapeutycznych o mechanizmie działania zbliżonym do leku Romvimza.

1.2. Szczegółowe warunki stosowania

1.2.1. Przeciwwskazania

- Nadwrażliwość na substancje czynne lub na którąkolwiek substancję pomocniczą:
 - zawartość kapsułki: laktoza jednowodna; krospowidon (E 1202); magnezu stearynian (E 470b);
 - otoczka kapsułki: żelatyna; tytanu dwutlenek (E 171), błękit brylantowy FCF (E 133) – kapsułka twarda 30 mg; erytrozyna (E 127) – kapsułka twarda 30 mg; żółcień pomarańczowa FCF (E 110) – kapsułka twarda 14 mg i 20 mg; tartrazyna (E 102) – kapsułka twarda 20 mg;
 - tusz do nadruku: szelak (E 904); glikol propylenowy (E 1520); potasu wodorotlenek (E 525); żelaza tlenek czarny (E 172).
- Stosowanie w okresie ciąży.

Komentarz analityków:

Nie wiadomo, czy wimseltynib przenika do mleka ludzkiego. Nie można wykluczyć zagrożenia dla dzieci karmionych piersią. Podczas leczenia wimseltynibem kobiety nie powinny karmić piersią.

Brak jest danych klinicznych dotyczących pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności nerek. Z tego powodu nie należy stosować leku Romvimza u tych pacjentów.

Brak jest danych klinicznych dotyczących pacjentów z umiarkowanymi i ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby. Z tego powodu nie należy stosować leku Romvimza u tych pacjentów.

Należy unikać leczenia produktem leczniczym Romvimza u pacjentów z wcześniej występującym zwiększeniem aktywności aminotransferaz w surowicy, zwiększeniem stężenia bilirubiny całkowitej lub bilirubiny bezpośredniej lub z czynną chorobą wątroby lub dróg żółciowych.

Produkt leczniczy nie powinien być stosowany u pacjentów z rzadko występującą dziedziczną nietolerancją galaktozy, brakiem laktazy lub zespołem złego wchłaniania glukozy-galaktozy.

1.2.2. Diagnostyka

1.2.2.1. Diagnostyka przy kwalifikacji

Na podstawie informacji zawartych w ChPL oraz EPAR Romvimza, diagnostyka przy kwalifikacji do leczenia wimseltynibem powinna obejmować:

- morfologię krwi z rozmazem;
- ocenę czynności wątroby, tj. oznaczenie stężenia bilirubiny całkowitej oraz poziomu ASPAT i ALAT we krwi;
- ocenę funkcji nerek, tj. oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi oraz wskaźnika przesączania kłębuszkowego (ang. *glomerular filtration rate*, GFR);
- badanie poziomu potasu, magnezu i wapnia we krwi;
- test przesiewowy w kierunku zakażeń wirusowych, w tym: HBV, HCV oraz HIV;
- test przesiewowy w kierunku zakażenia gruźlicą;
- wykonanie testu ciążowego u kobiet w wieku rozrodczym.

1.2.2.2. Monitorowanie

Monitorowanie pacjentów powinno obejmować:

- pomiar ciśnienia tętniczego krwi;
- ocenę stężenia kreatyniny we krwi;
- ocenę objawów świądu;

- ocenę czynności wątroby, tj. aktywności enzymów ASPAT, ALAT oraz stężenia bilirubiny we krwi – przed rozpoczęciem leczenia, raz w miesiącu przez pierwsze dwa miesiące i raz na 3 miesiące przez pierwszy rok leczenia, a następnie zgodnie ze wskazaniami klinicznymi.
- ocenę aktywności fosfatazy alkalicznej i fosfokinazy kreatynowej (CPK) we krwi.

1.3. Podsumowanie przedmiotu analizy

Lek Romvimza (wimsełtynib) to selektywny inhibitor kinazy tyrozynowej, który blokuje receptor czynnika stymulującego wzrost kolonii 1 (CSF1R), hamując tym samym sygnalizację białka CSF1 produkowanego w guzach olbrzymiokomórkowych pochewki ścięgna (TGCT). W konsekwencji wimsełtynib ogranicza wzrost guza i łagodzi objawy choroby. W Polsce nie ma obecnie dostępnych refundowanych opcji terapeutycznych o mechanizmie działania zbliżonym do leku Romvimza

Technologia lekowa Romvimza posiada status leku sierociego. Badania wymagane do diagnostyki oraz monitorowania leczenia są aktualnie refundowane w Polsce, a ich koszt nie wpływa w istotny sposób na całkowity koszt terapii.

2. Ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej

Celem tej części opracowania jest przedstawienie kontekstu zastosowania nowej technologii. Istotnym elementem jest zdefiniowanie niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej, która mierzona jest skutecznością dotychczas stosowanego postępowania w odniesieniu do sytuacji zdrowotnej populacji generalnej.

Ocena potrzeb zdrowotnych, w tym ocena niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej obejmuje charakterystykę choroby, włączając ocenę konsekwencji zdrowotnych, skutki ich nieleczenia oraz efekty podjętych działań terapeutycznych, ocenę populacji docelowej (w tym ocenę indywidualnych i społecznych potrzeb zdrowotnych oraz ocenę wielkości populacji docelowej w celu określenia m. in. skali potrzeb zdrowotnych oraz oszacowania kosztów terapii), a także ocenę dostępności alternatywnych technologii medycznych.

2.1. Problem zdrowotny

Guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgna (ang. *tenosynovial giant cell tumour, TGCT*)³

ICD-10: D48.1 (nowotwory o niepewnym lub nieznanym charakterze o innym i nieokreślonym umiejscowieniu), M12.2 (zapalenie błony maziowej kosmkowo-guzkowe (barwnikowe))

Kod ICD-11: 2F7Y & XH6911 (ang. *neoplasms of uncertain behavior of unspecified site & tenosynovial giant cell tumor, localized*)

Kod ORPHA: 66627 (barwnikowe kosmkowo-guzkowe zapalenie błony maziowej stawów)

Guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgna (TGCT) jest rzadkim, niezłośliwym, niezagrażającym życiu nowotworem obejmującym błonę maziową i pochewki ścięgna, który typowo występuje u osób młodych i w średnim wieku – najczęściej w 4. i 5. dekadzie życia w przypadku częstszej, zlokalizowanej postaci oraz nieco wcześniej (< 40 lat) w postaci rozlanej. Szacowana prevalencja TGCT w Unii Europejskiej, obejmująca zarówno postać zlokalizowaną, jak i rozlaną, wynosi ok. 2 na 10 000 osób. Dane pochodzące z Danii wskazują na zapadalność na poziomie 4,4 przypadków na milion dla postaci zlokalizowanej i 1,1 na milion dla postaci rozlanej, natomiast w Holandii odnotowano wskaźniki na poziomie 34 na milion osobolet dla postaci guza zlokalizowanej w palcach, 11 dla zlokalizowanej w innych kończynach oraz 5 dla postaci rozlanej.

Przyczyną TGCT jest deregulacja genu CSF1, co skutkuje nadprodukcją CSF1 i rekrutacją komórek zapalnych zależnych od CSF1R do zajętego stawu. Zmiana może występować jako pojedynczy guzek (postać zlokalizowana) lub jako liczne guzki (postać rozlana) wzdłuż błony maziowej lub pochewki ścięgna.

Objawy TGCT najczęściej obejmują ból, sztywność, obrzęk oraz ograniczenie zakresu ruchu w zajętym stawie, co może prowadzić do istotnego ograniczenia jego funkcji. Zlokalizowane postacie guza zwykle umożliwiają całkowite wycięcie zmiany z bardzo dobrym lub dobrym wynikiem klinicznym i niskim ryzykiem nawrotu. Rozlana postać TGCT wiąże się natomiast z ryzykiem wielokrotnych nawrotów, a u pacjentów częściej obserwuje się bardziej rozległe zajęcie tkanek i mniejsze prawdopodobieństwo powodzenia leczenia operacyjnego.

Zalecanym sposobem leczenia TGCT jest resekcja guza, jednak w przypadku rozlanej postaci choroby całkowite usunięcie guza wyłącznie metodą chirurgiczną jest znacznie trudniejsze. Obecnie w Unii Europejskiej nie ma innego zarejestrowanego produktu leczniczego w tym wskazaniu. Nie istnieje również powszechny standard postępowania u pacjentów z rozlaną postacią TGCT. W praktyce, w przypadku objawowych postaci stawowych, w pierwszej linii leczenia zaleca się radykalną resekcję (połączenie artroskopii i chirurgii otwartej w przypadku kolana; artroskopia lub chirurgia otwarta w przypadku biodra). Jako leczenie uzupełniające można rozważyć izotopową synowiortezę lub radioterapię zewnętrzną. W przypadku nawrotu lub szybkiej progresji, gdy całkowita resekcja nie jest możliwa lub wiązałaby się z ciężką chorobowością – opcje obejmują subtotalną resekcję z leczeniem uzupełniającym lub leczenie zachowawcze (terapia systemowa celowaną lub radioterapia). Celem leczenia systemowego w przypadku TGCT niekwalifikującego się do leczenia chirurgicznego, jest zmniejszenie rozmiaru guza w celu umożliwienia resekcji oraz zachowania funkcji stawu i poprawy jakości życia pacjenta.

Peksydartyinib – produkt o podobnym mechanizmie działania do leku Romvimza i istotnej hepatotoksyczności – został zatwierdzony do użytku w USA, ale ze względu na negatywny stosunek korzyści klinicznych do ryzyka nie uzyskał pozwolenia do obrotu w UE.

³ EPAR Romvimza, https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/romvimza-epar-public-assessment-report_en.pdf [dostęp: 19.12.2025].

Komentarz analityków:

Zdaniem analityków Agencji, istnieje niepewność dotycząca polskiego tłumaczenia przedstawionego w ChPL Romvimza, tj.: „guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgna (TGCT)”, które odnosi się do populacji pacjentów w ocenianym wskazaniu. Zgodnie z informacjami zawartymi w źródłach klinicznych^{4,5}, termin „tenosynovial giant cell tumour (TGCT)” w dosłownym tłumaczeniu oznacza „guza olbrzymiokomórkowego błony maziowej”, który może być zlokalizowany w błonach maziowych i pochewkach ścięgniastych stawów. Wyróżnia się natomiast dwie postacie TGCT – zlokalizowaną oraz rozlaną. Zgodnie z reklasyfikacją przedstawioną przez Światową Organizację Zdrowia (WHO)⁴ w 2013 r., postać zlokalizowana TGCT obejmuje m.in. guza olbrzymiokomórkowego pochewki ścięgna, tłumaczonego jako „giant cell tumor of tendon sheath (GCTTS)”, osobno natomiast klasyfikuje się rozlaną postać choroby. Na podstawie danych zawartych w EPAR Romvimza stwierdzono, że docelowa populacja chorych ocenianej interwencji uwzględnia zarówno pacjentów ze zlokalizowanym, jaki i rozlanym TGCT.

2.2. Rekomendacje i wytyczne kliniczne

Przeszukano następujące źródła w celu odnalezienia wytycznych praktyki klinicznej:

- Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej, PTOK (<https://ptok.pl/aktualne-zalecenia-i-standardy>);
- European Society for Medical Oncology, ESMO (<https://www.esmo.org/>);
- American Society of Clinical Oncology, ASCO (<https://ascopubs.org/jco/special/guidelines>);
- National Comprehensive Cancer Network, NCCN (<https://www.nccn.org/>);

Dodatkowo, przeprowadzono niesystematyczne wyszukiwanie przy użyciu wyszukiwarki internetowej z zastosowaniem słów kluczowych „tenosynovial giant cell tumour guidelines”, „tenosynovial giant cell tumour recommendations”, „TGCT guidelines”. Wyszukiwanie przeprowadzono w dniu 19.12.2025 r., a zaktualizowano w dniu 10.02.2026 r. Odnaleziono 3 dokumenty wytycznych. Przegląd wytycznych praktyki klinicznej ma na celu zidentyfikowanie zalecanych interwencji w ocenianym wskazaniu, tj. leczenie dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność. Najważniejsze informacje zawarte w odnalezionych wytycznych przedstawiono w tabeli znajdującej się w załączniku 9.1.

Podsumowanie:

Dokumenty wytycznych ESMO 2021 i Consensus Paper from the Community of Experts 2023 (Stacchiotti 2023) zostały opublikowane przed rejestracją produktu leczniczego Romvimza, jednak zarówno dokument Stacchiotti 2023, jak i NCCN 2026 uwzględniają technologię wimseltynib w schemacie postępowania u pacjentów z TGCT.

Wszystkie odnalezione wytyczne, w systemowym leczeniu pacjentów z TGCT, rekomendują terapię z wykorzystaniem peksydartynibu, imatynibu i nilotynibu (kat. II A wg Stacchiotti 2023; kat. 1 dla peksydartynibu oraz 2A dla pozostałych substancji wg NCCN). W dokumencie Stacchiotti 2023 podkreśla się, że ww. substancje są standardem postępowania u pacjentów z TGCT, u których poziom ryzyka oraz powikłań pooperacyjnych jest nieakceptowalny.

W rekomendacjach Stacchiotti 2023 oraz NCCN wimseltynib stanowi jedną z zalecanych opcji terapeutycznych (kat. IV A wg Stacchiotti 2023; kat. 1 wg NCCN). Wytyczne europejskie (Stacchiotti 2023) zwracają uwagę na fakt, że w krajach, w których nie ma dostępnych technologii zatwierdzonych w leczeniu chorych z TGCT, preferowaną opcją powinien być udział w badaniach klinicznych nad lekami takimi jak: wimseltynib, emacutuzumab oraz kaplacyzumab. Dodatkowo wskazuje się na możliwość zastosowania leków *off-label* ukierunkowanych na CSF1 (m.in. imatynib, nilotynib).

Wnioski:

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi, postępowanie terapeutyczne u pacjentów z objawowym TGCT związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, powinno obejmować leczenie z wykorzystaniem peksydartynibu, imatynibu, nilotynibu lub **wimseltynibu**. Ponadto, zaleca się również udział w badaniach klinicznych nad lekami takimi jak: emacutuzumab oraz kaplacyzumab.

⁴ Healey J.H., Bernthal N. M. oraz van de Sande M., *Management of Tenosynovial Giant Cell Tumor: A Neoplastic and Inflammatory Disease*, J Am Acad Orthop Surg Glob Res Rev. 2020. 4(11): e20.00028. doi: 10.5435/JAAOSGlobal-D-20-00028.

⁵ <https://www.termedia.pl/onkologia/Vimseltinib-w-leczeniu-pacjentow-z-TGCT.61613.html> [dostęp: 15.01.2026].

2.3. Przegląd wcześniejszych ocen AOTMiT

Podsumowanie

Produkt leczniczy Romvimza oraz substancja czynna wimseltynib, nie były wcześniej przedmiotem oceny AOTMiT.

2.4. Analiza dostępności opcji terapeutycznych w Polsce

Opcje terapeutyczne stosowane w ocenianym wskazaniu stanowią:

- wg EPAR:
 - leczenie chirurgiczne;
 - terapia systemowa, celowana lub radioterapia;
 - peksydartynib.
- wg odnalezionych wytycznych klinicznych:
 - peksydartynib;
 - imatynib;
 - nilotynib;
 - **wimseltynib**;
 - emacutuzumab;
 - kaplacyzumab.
- wg badań klinicznych włączonych do analizy w ramach przeglądu systematycznego: brak.

Spośród ww. opcji terapeutycznych wg Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2025 r.⁶ we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, nie są refundowane żadne substancje czynne.

Komentarz analityków

Należy zaznaczyć, iż we wskazaniu „nowotwory o niepewnym lub nieznanym charakterze o innym lub nieokreślonym umiejscowieniu: tkanka łączna i inne tkanki miękkie (ICD-10: D48.1)”, refundowane są substancje czynne z katalogu chemioterapii (bleomycyna, cisplatyna, cyklofosfamid, dakarbazyna, doksorubicyna, epirubicyna, etopozyd, fluorouracyl, ifosfamid, metotreksat, winkrystyna, winorelbina). Biorąc jednak pod uwagę wytyczne kliniczne, substancje te nie są zalecane w przedmiotowym wskazaniu. Aktualnie w Polsce, dla pacjentów z ocenianego wskazania jedyną dostępną opcję terapeutyczną stanowi radioterapia (radiosynowektomia lub radioterapia wiązka zewnętrzną (EBRT))⁷.

Dodatkowo, substancje czynne imatynib i nilotynib, zalecane przez wytyczne w ocenianym wskazaniu, są obecnie refundowane w Polsce w innych niż oceniane wskazaniach⁶ i mogłyby być potencjalnie stosowane u pacjentów z TGCT w ramach procedury off-label. Na dzień sporządzenia niniejszego raportu nie zidentyfikowano jednak publicznie dostępnych danych dotyczących stosowania w Polsce inhibitorów szlaku CSF1 poza wskazaniami rejestracyjnymi.

2.5. Podsumowanie oceny niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej

Guz olbrzymiokomórkowy pochewki ścięgna (TGCT) jest rzadkim, niezłośliwym nowotworem, którego przyczyną jest deregulacja genu CSF1. Objawy TGCT najczęściej obejmują ból, sztywność, obrzęk oraz ograniczenie zakresu ruchu w zajętej stawie, co może prowadzić do istotnego ograniczenia jego funkcji. Większość pacjentów

⁶ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2026 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-18-grudnia-2025-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-stycznia-2026-r> [dostęp: 9.01.2026].

⁷ Kager M., Kager R., Falek P. et al., *Tenosynovial giant cell tumor*, FOLIA MEDICA CRACOVIENSIA 2022. LXII (2): 93-107, doi: 10.24425/fmc.2022.141702.

dotkniętych TGCT to osoby młode oraz w średnim wieku i chociaż choroba ta zazwyczaj nie zagraża życiu, to ma jednak wpływ na jego jakość.

Główną metodą leczenia TGCT jest jego operacyjne usunięcie. Rozlana postać TGCT wiąże się natomiast z ryzykiem wielokrotnych nawrotów, a u pacjentów częściej obserwuje się bardziej rozległe zajęcie tkanek i mniejsze prawdopodobieństwo powodzenia leczenia chirurgicznego.

Według odnalezionych wytycznych, postępowanie terapeutyczne w leczeniu pacjentów z objawowym TGCT związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, powinno obejmować leczenie z wykorzystaniem peksydartynibu, imatynibu, nilotynibu lub wimseltynibu. Wytyczne wskazują, iż dostępne obecnie dane naukowe są niewystarczające do sformułowania wiarygodnych rekomendacji dotyczących stosowania radioterapii w leczeniu TGCT.

Produkt leczniczy Romvimza oraz substancja czynna wimseltynib, nie były wcześniej przedmiotem oceny AOTMiT.

Aktualnie w Polsce u pacjentów z TGCT, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, nie jest dostępna żadna refundowana terapia systemowa – w praktyce klinicznej możliwe jest jedynie zastosowanie radioterapii.

3. Wielkość populacji docelowej

3.1. Szacowanie wielkości populacji

3.1.1. Opis metodyki

Zgodnie z informacjami zawartymi w ChPL, lek Romvimza jest wskazany do stosowania w leczeniu dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność.

W oparciu o informacje zawarte w EPAR Romvimza³, założono, że większość chorych, kwalifikujących się do leczenia ocenianą interwencją, będą stanowili pacjenci z rozlaną postacią choroby (guzkowym zapaleniem błony maziowej stawów – ICD-10: M12.2). U pacjentów ze zlokalizowanym TGCT chirurgiczne leczenie stanowi preferowaną metodę terapii.

Poniżej przedstawiono liczbę pacjentów (unikalne numery PESEL) z rozpoznaniem ICD-10: M12.2 w ostatnich 5 latach (Tabela 2).

Tabela 2. Liczba pacjentów z rozpoznaniem guzkowe zapalenie błony maziowej stawów (ICD-10: M12.2) w okresie 2020–2025 r.

Pacjenci (unikalne numery PESEL)		2020	2021	2022	2023	2024	2025
Sprawdzano kod (główny lub współistniejący) ICD-10: M12.2	≥ 18 lat	61	53	68	87	97	105

Źródło: Zintegrowany Model Analityczny CeZ (data dostępu: 16.01.2026).

Na podstawie sprawozdanych danych, za pomocą funkcji Arkusz prognozy programu Excel, dokonano ekstrapolacji w celu oszacowania liczby pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: M.12.2 w następnych latach. Otrzymane wyniki przedstawiono poniżej (Tabela 3).

Tabela 3. Oszacowana prognozowana liczba pacjentów z guzkowym zapaleniem błony maziowej stawów na lata 2026-2027

Rok	2026	2027
Prognozowana liczba pacjentów (95% CI)	118 (101 – 135)	130 (111 – 149)

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

3.1.2. Wyniki oszacowań

Szacowana populacja w pierwszym roku: 120 (100 – 140; zaokrąglenie do pełnych dziesiątek).

Szacowana populacja w drugim roku: 130 (110 – 150; zaokrąglenie do pełnych dziesiątek).

3.2. Podsumowanie szacowania populacji

Szacuje się, że populacja docelowa wyniesie ok. 120 osób w pierwszym roku oraz ok. 130 chorych w drugim roku. Lek stosowany jest dopóki obserwowana jest korzyść kliniczna lub do czasu wystąpienia nieakceptowalnej toksyczności.

Należy podkreślić, że brakuje danych odnośnie liczby pacjentów z TGCT związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność. W powyższym oszacowaniu nie ujęto również pacjentów ze zlokalizowaną postacią choroby. Biorąc powyższe pod uwagę, przedstawiona prognozowana liczba pacjentów obarczona jest znaczną niepewnością.

4. Dowody naukowe

4.1. Wyszukiwanie dowodów naukowych

W celu odnalezienia dowodów naukowych dotyczących leku Romvimza (wimseltynib) we wskazaniu: leczeniu dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, przeprowadzono przegląd następujących medycznych baz informacji Medline (przez PubMed), Embase (przez Ovid) oraz Cochrane Library. Przeszukania źródeł informacji dokonano w dniu 9.01.2026 roku. Zastosowana w bazie strategia wyszukiwania została przedstawiona w załączniku 9.2. Struktura zastosowanych kwerend była dostosowana do ocenianego problemu decyzyjnego. Posługiwano się słowami kluczowymi ograniczającymi wyniki wyszukiwania względem populacji i interwencji, łącząc kwerendy odpowiednimi operatorami logicznymi Boole’a. Wyników wyszukiwania nie ograniczano względem komparatorów i ocenianych punktów końcowych. Prace prowadzono dwuetapowo, najpierw dokonano selekcji badań po tytułach i abstraktach, a następnie w oparciu o pełne teksty publikacji. Selekcja abstraktów została przeprowadzona przez dwóch analityków niezależnie, po czym drogą konsensusu zakwalifikowano ostatecznie prace do analizy. Do przeglądu włączano publikacje spełniające predefiniowane kryteria włączenia, przedstawione w tabeli poniżej.

Tabela 4. Kryteria włączenia publikacji do analizy

	Kryterium włączenia badań	Kryterium wyłączenia badań
Populacja	dorośli pacjenci z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność	populacja inna niż zdefiniowana w kryterium włączenia
Interwencja	wimseltynib	niezgodna z tą wskazaną w kryteriach włączenia
Komparator	brak ograniczeń	
Punkty końcowe	brak ograniczeń	
Typ badań	poszukiwano doniesień pierwotnych o najwyższym poziomie wiarygodności	
Inne	publikacje w języku polskim i angielskim, badania dotyczące ludzi	publikacje w innych językach, brak publikacji pełnotekstowych, doniesienia konferencyjne, badania przeprowadzone na zwierzętach lub <i>in vitro</i>

4.2. Opis badań

W ramach przeglądu systematycznego zakwalifikowano dwie publikacje, odstąpiono natomiast od ich opisu, ponieważ jedna⁸ z nich odnosiła się do głównego badania rejestracyjnego leku Romvimza, natomiast druga⁹ do badania wspierającego I/II fazy DCC-3014, mającego na celu ocenę bezpieczeństwa i skuteczności leku oraz ustalenie jego właściwej dawki. W tabeli poniżej przedstawiono charakterystykę głównego badania rejestracyjnego.

Tabela 5. Skrócowa charakterystyka wybranych badań włączonych do przeglądu systematycznego

Badanie	Metodyka	Populacja	Interwencja / Komparator	Punkty końcowe
MOTION (NCT05059262) <u>Typ badania:</u> interwencyjne <u>Źródło finansowania:</u> Deciphera Pharmaceuticals, LLC	<u>Badanie:</u> - fazy III, - randomizowane, - dwuramienne, - podwójnie ślepej próby (Część 1) oraz otwartej próby (Część 2), - wieloośrodkowe (w tym Polska). <u>Hipoteza:</u> <i>superiority</i>. <u>Czas obserwacji:</u> - faza podwójnie zaślepiona (Część 1.): 24 tygodnie; - faza otwartej próby (Część 2.): 24 tygodnie; - max. okres obserwacji: 97 tyg. (22,4 mies.).	Dorośli pacjenci z guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT), w przypadku którego resekcja chirurgiczna może spowodować pogorszenie ograniczeń funkcjonalnych lub poważne powikłania. Przed włączeniem do badania chorzy nie mogli stosować uprzednio terapii systemowej ukierunkowanej na CSF1 lub CSF1R, natomiast uprzednia terapia imatynibem lub nilotynibem była dozwolona. Pacjentów zrandomizowano w stosunku 2:1 do grupy otrzymującej wimseltynib lub placebo w pierwszej części badania. Po zakończeniu Części 1. chorzy, którzy wyrazili chęć kontynuacji leczenia będą mogli przejść do drugiej części badania. Uczestnicy zrandomizowani do placebo przejdą na leczenie wimseltynibem, natomiast, pacjenci początkowo zrandomizowani do wimseltynibu będą kontynuować jego stosowanie. <u>Charakterystyka pacjentów:</u> - kobiety stanowiły 59,3%, a mężczyźni 40,7%; - średnia wieku wyniosła 43,4 lat (mediana 44 lata); - rasa biała stanowiła 65%; - rodzaj TGCT: - rozlany: 69,1%; - zlokalizowany 29,3%; - brak danych: 1,6%;	<u>Interwencja:</u> Wimseltynib podawany doustnie dwa razy w tygodniu w dawce 30 mg. <u>Komparator:</u> Placebo podawane doustnie, dwa razy w tygodniu.	<u>Pierwszorzędowy:</u> - Wskaźnik obiektywnych odpowiedzi (ang. <i>objective response rate</i>, ORR), oceniany przez Niezależny, Zaślepiony Przegląd Radiologiczny (ang. <i>Independent Radiologic Review</i>, IRR) i potwierdzony w oparciu o kryteria RECIST 1.1 (ang. <i>Response Evaluation Criteria in Solid Tumors</i>, version 1.1) w 25. tygodniu. <u>Pozostałe (wybrane):</u> - Zmiana względem wartości wyjściowej w skali Systemu Pomiaru Wyników zgłaszanych przez Pacjentów – Funkcja Fizyczna (ang. <i>Patient-reported Outcomes Measurement Information System-Physical Function</i>, PROMIS-PF) w 25. tygodniu. - Zmiana względem wartości wyjściowej w Numerycznej Skali Oceny (ang. <i>Numeric Rating Scale</i>, NRS) największej odczuwanej sztywności w 25. tygodniu. - Zmiana względem wartości wyjściowej w Skali Wizualno Analogowej EuroQol (ang. <i>EuroQol – Visual Analogue Scale</i>, EQ-VAS) w 25. tygodniu.

⁸ Gelderblom H., Bhadri V., Stacchiotti S. et al., *Vimseltinib versus placebo for tenosynovial giant cell tumour (MOTION): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial*, Lancet 2024. 403(10445): 2709–2719. doi:10.1016/S0140-6736(24)00885-7.

⁹ Gelderblom H., Razak A.A., Taylor M.H. et al., *CSF1R Inhibition in Patients with Advanced Solid Tumors or Tenosynovial Giant Cell Tumor: A Phase I Study of Vimseltinib*, Clin Cancer Res. 2024. 30(18): 3996–4004. doi: 10.1158/1078-0432.CCR-24-0103.

Badanie	Metodyka	Populacja	Interwencja / Komparator	Punkty końcowe
		- co najmniej jeden wcześniejszy zabieg chirurgiczny: 74%; - wcześniejsza terapia systemowa: - imatynib: 18,7%; - nilotynib: 4,9%; - wcześniejsze stosowanie radioterapii: 8,9%; - lokalizacja guza: - kończyna dolna: 88,6%; - inne: 11,4%. <u>Liczba pacjentów:</u> Łącznie: N=123 - wimsełtynib: n=83; - placebo: n=40.		- Odsetek uczestników z odpowiedzią ocenianą na podstawie Numerycznej Skali Oceny (NRS) Skróconego Inwentarza Bólu (ang. <i>Brief Pain Inventory</i>, BPI) oraz stosowania leków przeciwbólowych w 25. tygodniu. - ORR wg wskaźnika objętości guza (ang. <i>tumor volume score</i>, TVS) w 25. tygodniu. - Zmiana względem wartości wyjściowej w zakresie aktywnego ruchu (ang. <i>range of motion</i>, ROM) zajętego stawu, w odniesieniu do standardu referencyjnego w 25. tygodniu. - Częstość występowania i nasilenie zdarzeń niepożądanych.

Źródło: Opracowanie własne na podstawie EPAR Romvimza, https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/romvimza-epar-public-assessment-report_en.pdf, <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05059262> [dostęp: 12.01.2026].

4.2.1. Opis komparatora

Komparatorem w badaniu rejestracyjnym dla leku Romvimza było placebo. Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne, technologie alternatywne w stosunku do ocenianej interwencji mogłyby stanowić peksydartynib, imatynib lub nilotynib. Aktualnie w Polsce dla pacjentów z TGCT, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, dostępna jest jedynie radioterapia.

4.2.2. Opis punktów końcowych

Badanie MOTION:

Punkty końcowe odnoszące się do:

- Śmiertelności: brak.
- Przeżycia wolnego od progresji: brak.
- Jakości życia:
 - Zmiana względem wartości wyjściowej w skali Systemu Pomiaru Wyników zgłaszanych przez Pacjentów – Funkcja Fizyczna (ang. *Patient-Reported Outcomes Measurement Information System-Physical Function*, PROMIS-PF) do 25. tygodnia – kwestionariusz obejmował 15 pytań ocenianych w pięciostopniowej skali werbalnej. Łączne wyniki przedstawiano w zakresie od 0 do 100, gdzie wyższe wartości oznaczały mniejsze ograniczenia funkcji fizycznej i lepszy stan zdrowia.
 - Zmiana względem wartości wyjściowej w Numerycznej Skali Oceny (ang. *Numeric Rating Scale*, NRS) największej odczuwanej sztywności do 25. tygodnia – pojedyncze pytanie oceniające największą sztywność w ciągu ostatnich 24 godzin, w skali od 0 do 10, gdzie niższe wartości oznaczały niższy poziom sztywności.
 - Zmiana względem wartości wyjściowej w Skali Wizualno-Analogowej EuroQol (ang. *EuroQol – Visual Analogue Scale*, EQ-VAS) do 25. tygodnia – pomiar ogólnego stanu zdrowia na podstawie skali, w której wartość 0 oznaczała „najgorszy wyobrażalny stan zdrowia”, a wynik 100 „najlepszy wyobrażalny stan zdrowia”.
 - Odsetek uczestników z odpowiedzią ocenianą na podstawie Numerycznej Skali Oceny (NRS) Skróconego Inwentarza Bólu (ang. *Brief Pain Inventory*, BPI) oraz stosowania leków przeciwbólowych [od wartości wyjściowej do 25. tygodnia] – wartość 0 w skali oznaczała „brak bólu”, a 10 „najgorszy wyobrażalny ból”. Odpowiedź u pacjenta została zdefiniowana jako spadek o co najmniej 30% w średniej wartości BPI dla największego bólu wg NRS oraz brak wzrostu o $\geq 30\%$ w stosowaniu opioidowych leków przeciwbólowych.
- Wyleczenia: brak.
- Zastępczych punktów końcowych:
 - Wskaźnik obiektywnych odpowiedzi (ang. *objective response rate*, ORR), oceniany przez Niezależny, Zaślepiiony Przegląd Radiologiczny (ang. *Independent Radiologic Review*, IRR) i potwierdzony w oparciu o kryteria RECIST 1.1 (ang. *Response Evaluation Criteria in Solid Tumors*, version 1.1) [od wartości wyjściowej do 25. tygodnia] – zdefiniowany jako odsetek pacjentów, którzy osiągnęli odpowiedź całkowitą (ang. *complete response*, CR) lub częściową (ang. *partial response*, PR) – **punkt pierwszorzędowy**.
 - ORR wg wskaźnika objętości guza (ang. *tumor volume score*, TVS) [od wartości wyjściowej do 25. tygodnia] – oceny dokonywano w oparciu o badanie wykonane metodą rezonansu magnetycznego; guz o objętości równej maksymalnie rozdętej jamie stawowej lub pochewce ścięgna otrzymywał wynik 10, natomiast wynik 0 oznaczał brak dowodów na obecność guza.
 - Zmiana względem wartości wyjściowej w zakresie aktywnego ruchu (ang. *range of motion*, ROM) zajętego stawu, w odniesieniu do standardu referencyjnego w 25. tygodniu – pomiar zajętego stawu oraz przeciwnego, nieobjętego chorobą stawu został wykonany za pomocą goniometru i wyrażony w stopniach. Na początku badania zidentyfikowano ruch o najmniejszej względnej wartości ROM (najgorszy) i ruch ten został wykorzystany do oceny zmiany względnego ROM w kolejnych pomiarach. Obliczony, względny ROM porównano z wartością referencyjną określoną przez *American Medical Association*.
- Bezpieczeństwa:
 - Częstość występowania i nasilenie zdarzeń niepożądanych.

4.3. Kryteria populacji docelowej

Zestawienie kryteriów populacji docelowej na podstawie badania rejestracyjnego MOTION oraz ChPL Romvimza przedstawiono w tabeli znajdującej się w załączniku 9.4.

Podsumowanie:

Zarówno w głównym badaniu rejestracyjnym, jak i w ChPL kryterium rozpoczęcia terapii produktem leczniczym Romvimza była diagnoza objawowego TGCT, w przypadku którego resekcja chirurgiczna może potencjalnie spowodować pogorszenie ograniczenia funkcjonowania fizycznego lub ciężkie powikłania. Kryteria włączenia oraz wykluczenia są szerzej opisane w badaniu rejestracyjnym niż w Charakterystyce Produktu Leczniczego.

Z badania MOTION byli wykluczani m.in. pacjenci z: aktywnym nowotworem wymagającym równoczesnego leczenia; wydłużeniem odstępu QT; klinicznie istotnymi chorobami współistniejącymi; aktywną chorobą wątroby lub dróg żółciowych oraz ze znaną infekcją HIV, HCV, HBV lub gruźlicą.

4.4. Ocena jakości badań

Wiarygodność badania rejestracyjnego **MOTION**, które zostało włączone do analizy, oceniono z zastosowaniem narzędzia z Risk of bias Tool 2.0. Szczegóły oceny przedstawiono w załączniku 9.5.

Wnioski:

Ogólne ryzyko błędu systematycznego w badaniu rejestracyjnym oceniono jako niskie.

4.5. Podsumowanie materiału dowodowego

Ocenę efektywności klinicznej ocenianej technologii przeprowadzono w oparciu o badania stanowiące podstawę wnioskowania na rzecz procedury dopuszczenia do obrotu przez EMA:

- MOTION (badanie rejestracyjne) – wieloośrodkowe, randomizowane badanie III fazy, oceniające skuteczność i bezpieczeństwo zastosowania wimseltynibu u dorosłych pacjentów z guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT), w przypadku którego resekcja chirurgiczna może spowodować pogorszenie ograniczeń funkcjonalnych lub poważne powikłania.

Ponadto przeprowadzono przegląd systematyczny ukierunkowany na identyfikację badań pierwotnych o najwyższym poziomie wiarygodności, w wyniku którego nie zidentyfikowano innych, niż badanie rejestracyjne, badań z randomizacją, odnaleziono natomiast dodatkowe źródła informacji:

- publikacja *Gelderblom H., Bhadri V., Stacchiotti S. et al. 2024*, opisująca wyniki badania rejestracyjnego MOTION;
- publikacja *Gelderblom H., Razak A.A., Taylor M.H. et al. 2024*, opisująca wyniki badania wspierającego DCC-3014-01-001;
- wyniki z badania rejestracyjnego, opublikowane na stronie clinicaltrials.gov.

Wiarygodność badania rejestracyjnego MOTION oceniono wg narzędzia RoB 2.0. dla badań z randomizacją. Ogólne ryzyko błędu systematycznego w badaniu oceniono jako niskie.

5. Ocena siły interwencji

5.1. Ocena skuteczności klinicznej

Poniżej (Tabela 6) przedstawiono i omówiono dane dla najważniejszych punktów końcowych głównego badania rejestracyjnego MOTION. Wyniki te dotyczą okresu podwójnie zaślepionego badania, w którym porównywano skuteczność wimseltynibu z placebo.

Tabela 6. Zestawienie wyników skuteczności na podstawie badania rejestracyjnego MOTION (oceniane w 25. tygodniu)

Parametr	Wimseltynib, n=83	Placebo, n=40	Uwagi
<u>Jakość życia</u>			
PROMIS-PF			
Zmiana średnich LS od wartości początkowej (95% CI)	4,6 (2,7; 6,5)	1,3 (-0,5; 3,0)	
Różnica w średnich LS (95% CI)	3,3 (1,4; 5,2)		p=0,0007
Największa sztywność NRS			
Zmiana średnich LS od wartości początkowej (95% CI)	-2,1 (-2,5; -1,6)	-0,3 (-0,8; 0,3)	
Różnica w średnich LS (95% CI)	-1,8 (-2,5; -1,1)		p<0,0001
EQ-VAS			
Zmiana średnich LS od wartości początkowej (95% CI)	13,5 (8,9; 18,2)	6,1 (0,5; 11,8)	
Różnica w średnich LS (95% CI)	7,4 (1,4; 13,4)		p=0,0155
BPI			
Odsetek odpowiedzi (95% CI)	48,2% (37,1; 59,4)	22,5% (10,8; 38,5)	
Różnica w zakresie odsetka osób, u których uzyskano odpowiedź (95% CI)	26,2% (9,5; 42,8)		p=0,0056
<u>Pozostałe punkty końcowe</u>			
ORR wg RECIST v1.1 (95% CI)	40% (29; 51)	0% (0; 9)	p<0,0001
CR	5%	0%	
PR	35%	0%	
SD	51%	82%	
PD	0	0	
ORR wg wskaźnika objętości guza (95% CI)	67% (56; 77)	0% (0; 9)	p<0,0001

Parametr	Wimsełtynib, n=83	Placebo, n=40	Uwagi
Aktywny ROM			
Zmiana średnich LS od wartości początkowej (95% CI)	18,4 (5,6; 31,2)	3,8 (-10,5; 18,0)	
Różnica w średnich LS (95% CI)	14,6 (4,0; 25,3)		p=0,0077

Źródło: ChPL Romvimza.

LS – metoda najmniejszych kwadratów (ang. *least squares*)

Po zakończeniu fazy podwójnie zaślepionej (po 25. tygodniu) uczestnicy przydzieleni do ramienia interwencyjnego kontynuowali leczenie wimsełtynibem, natomiast pacjenci pierwotnie zrandomizowani do ramienia placebo uzyskali możliwość przejścia do ramienia interwencji. Łącznie, 88 pacjentów ukończyło drugą, otwartą fazę badania.

W analizie opisowej przeprowadzonej w tygodniu 97., w otwartej fazie badania, 19 spośród 83 pacjentów początkowo losowo przydzielonych do grupy otrzymującej wimsełtynib (23%) uzyskało całkowitą odpowiedź (CR) zgodnie z RECIST v1.1, przy medianie czasu do CR wynoszącej ok. 50 tygodni. Wyniki te wskazują, że ocena punktów końcowych skuteczności w 25. tygodniu badania była znacznie przedwczesna.

5.2. Ocena bezpieczeństwa stosowania

Profil bezpieczeństwa ocenianej technologii oparto na zbiorczych analizach 184 uczestników, którzy otrzymywali wimsełtynib w dawce 30 mg dwa razy w tygodniu, w badaniu MOTION (n=118, w tym 35 osób z grupy placebo z Części 2, które przeszły do grupy badanej) oraz w wspierającym badaniu DCC-3014 I/II fazy (n=66). Mediana czasu trwania leczenia wimsełtynibem wyniosła 13 miesięcy.

Poniżej (Tabela 7) przedstawiono dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania technologii Romvimza na podstawie wyników głównego badania rejestracyjnego MOTION oraz badania wspierającego DCC-3014.

Tabela 7. Podsumowanie wyników dotyczących bezpieczeństwa wimsełtynibu (badanie MOTION oraz dane łączone z badania MOTION i badania DCC-3014)

Parametr	MOTION		MOTION + DCC-3014
	Wimsełtynib n= 83	Placebo n=39	Wimsełtynib n=184
Liczba pacjentów z co najmniej jednym:	n (%)		
Jakiegokolwiek zdarzenie niepożądane związane z leczeniem (ang. <i>treatment-emergent adverse event</i> , TEAE)	83 (100)	37 (95)	bd
TEAE związane z leczeniem	79 (95)	29 (74)	178 (97)
TEAE stopnia 3./4.	31 (37)	4 (10)	bd
TEAE stopnia 3./4. związane z leczeniem	25 (30)	1 (3)	bd
Poważne AE (ang. <i>serious adverse event</i> , SAE)	6 (7)	1 (3)	bd
SAE związane z leczeniem	1 (1)	0	bd
TEAE prowadzące do modyfikacji dawki	47 (57)	2 (5)	bd
TEAE prowadzące do przerwania leczenia	37 (45)	2 (5)	bd
TEAE prowadzące do trwałego zakończenia leczenia	3 (4)	0	17 (9)
TEAE prowadzące do zgonu	0	0	bd
Najczęściej zgłaszane TEAE związane z leczeniem:			
Obrzęk okołoczdolowy	36 (43)	5 (13)	82 (45)
Zmęczenie	27 (33)	6 (15)	52 (28)
Obrzęk twarzy	25 (30)	2 (5)	46 (25)
Astenia	21 (25)	5 (13)	51 (28)
Świąd	22 (27)	3 (8)	48 (26)
Podwyższony poziom CPK we krwi	19 (23)	0	77 (42)
Podwyższony poziom ASPAT	17 (21)	1 (3)	48 (26)

bd – brak danych

Źródło: EPAR Romvimza.

Alerty dotyczące bezpieczeństwa

Na stronie Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych (URPL)¹⁰, na dzień 20.01.2026 r. nie odnaleziono komunikatów związanych z bezpieczeństwem stosowania leku Romvimza.

W bazie FDA Adverse Event Reporting System (FAERS)¹¹ na dzień 20.01.2026 r. odnotowano informację na temat bezpieczeństwa stosowania produktu leczniczego Romvimza. Zidentyfikowano 331 przypadków działań niepożądanych, z czego 37 dotyczyło ciężkich przypadków (w tym 1 zgon). Najwięcej powikłań dotyczyło:

- zaburzeń ogólnych i stanów w miejscu podania (187),

¹⁰ <https://www.gov.pl/web/urpl/komunikaty-bezpieczenstwa3> [dostęp: 20.01.2026].

¹¹ <https://fis.fda.gov/sense/app/95239e26-e0be-42d9-a960-9a5f7f1c25ee/sheet/45beeb74-30ab-46be-8267-5756582633b4/state/analysis> [dostęp: 20.01.2026].

- zaburzeń oka (98),
- zaburzeń w badaniach laboratoryjnych (95),
- zaburzeń skóry i tkanki podskórnej (92),
- zaburzeń układu nerwowego (73).

W bazie EudraVigilance¹² do dnia 20.01.2026 r. odnotowano 4 przypadki działań niepożądanych związanych z przyjmowaniem wimseltynibu i dotyczyły one:

- zaburzeń w badaniach laboratoryjnych (2),
- urazów, zatruc i powikłań proceduralnych (1),
- zaburzeń oka (1).

W bazie VigiAccess¹³ prowadzonej przez WHO, do dnia 20.01.2026 r. odnotowano 169 przypadków działań niepożądanych leku Romvimza. Najczęściej dotyczyły one:

- zaburzeń ogólnych i stanów w miejscu podania (98),
- zaburzeń skóry i tkanki podskórnej (52),
- zaburzeń układu nerwowego (40),
- zaburzeń układu pokarmowego (33),
- urazów, zatruc i powikłań proceduralnych (30).

5.3. Ograniczenia analizy klinicznej

- Nieliczna populacja (83 pacjentów w grupie interwencji).
- Ze względu na krótki, 24-tygodniowy czas trwania części badania kontrolowanej placebo, wnioski dotyczące pełnej skuteczności technologii w porównaniu z placebo są ograniczone.
- Krótki okres leczenia (mediana wynosząca 13 miesięcy dla badań MOTION i DCC-3014 w analizie bezpieczeństwa) należy uznać za niewystarczający do oceny potencjalnych długoterminowych następstw planowanego, długotrwałego stosowania ocenianej technologii.
- Wysoki odsetek występowania odstępstw od protokołu – zareportowano je u ok. 79% pacjentów.
- Populacja badania charakteryzowała się wysoką heterogenicznością, wynikającą z włączenia zarówno pacjentów z postacią zlokalizowaną choroby, jak i chorych z bardziej agresywną, rozlaną postacią.
- W badaniu stratyfikację przeprowadzono w oparciu o lokalizację guza oraz regionu geograficznego, nie uwzględniono natomiast kategorii wielkości guza, co przy wysoce heterogenicznej populacji mogłoby mieć wpływ na wiarygodność wyników.
- Widoczne, łatwe do rozpoznania zdarzenia niepożądane występujące na skórze (wysypka, obrzęk) mogły naruszać zaślepienie badania, co z kolei mogło wpłynąć na raportowane wyniki dotyczące jakości życia.
- Ocena wyników PROMIS-PF, agregowanych dla różnych stawów, utrudnia właściwe oszacowanie klinicznego znaczenia raportowanej poprawy. Dodatkowo, w badaniu MOTION przeprowadzono jednorazową ocenę w zakresie PROMIS-PF tuż przed rozpoczęciem leczenia, co nie spełnia zalecenia dotyczącego przeprowadzenia wielokrotnej oceny i wpływa na ograniczenie wiarygodności wyników.
- Próg minimalnie istotnej klinicznie różnicy (ang. *Minimal Clinically Important Difference*, MCID), przyjęty przez wnioskodawcę do interpretacji odsetka pacjentów odnoszących korzyść kliniczną na podstawie PRO nie został zatwierdzony przez Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (ang. *Committee for Medicinal Products for Human Use*, CHMP).
- Zastosowanie różnicy średnich obliczonej metodą najmniejszych kwadratów do prezentacji wyników oceny jakości życia wiąże się z pewnymi ograniczeniami.
 - Metoda najmniejszych kwadratów nie toleruje w zbiorze danych wartości odstających. Wynika to z faktu, że wartość odstająca wpływa na linię regresji. Dlatego w analizie regresji eliminuje się wartości odstające z utworzonych baz danych, aby nie zaburzały postaci linii regresji.
 - Wybór metody zależy od „charakteru” uzyskanych danych. Jeżeli dane układają się w widoczny trend (widać, że wyniki rosną lub nie), wtedy metoda najmniejszych kwadratów będzie bardziej przejrzysta (LSMD). Gdy dane są rozrzucone na skali ocen, lepiej nie wybierać metody LSMD, ponieważ jest to

¹² <https://www.adrreports.eu/en/disclaimer.html> [dostęp: 20.01.2026].

¹³ <https://vigiaccess.org/> [dostęp: 20.01.2026].

metoda predykcyjna, czyli próbująca przewidzieć wartości na podstawie istniejących danych. Każdy rozrzut danych spowoduje, że przewidywanie (lub predykcja) będzie o wiele mniej dokładne.

- o Dodatkowo może to stwarzać problemy przy ewentualnym zbieraniu danych, monitorowaniu leczenia oraz oceny efektywności leczenia w warunkach praktyki rzeczywistej.

5.4. Podsumowanie siły interwencji

Podsumowanie skuteczności

W głównym badaniu rejestracyjnym MOTION wykazano istotną statystycznie różnicę w zakresie wyników ORR wg RECIST v1.1 (40% w grupie interwencji vs 0% w grupie komparatora, $p < 0,0001$) w 25. tygodniu. W grupie wimsełtynibu odpowiedź całkowitą zareportowano u 5% pacjentów. Niemniej jednak, u ok. połowy pacjentów z grupy interwencji (51%) utrzymywała się jedynie stabilizacja choroby, przy jednocześnie bardzo wysokim odsetku stabilnej choroby w ramieniu placebo (82%).

Dostępna aktualizacja wyników dotyczących skuteczności po 97 tygodniach obserwacji wykazuje klinicznie istotny i znaczący wzrost odsetka całkowitej odpowiedzi do 23% wśród pacjentów leczonych wimsełtynibem, co sugeruje, że ocena dokonana w 25. tygodniu była zbyt wczesna.

W zakresie drugorzędowych punktów końcowych badania, tj. zmian ruchomości stawu (ROM) oraz wyników dotyczących jakości życia (funkcjonowanie fizyczne, sztywność, ból), w 25. tygodniu badania zaobserwowano statystycznie istotną poprawę w ramieniu interwencji w porównaniu z placebo. Należy jednocześnie zauważyć, iż istnieje niepewność dotycząca raportowanych PRO ze względu na pewne problemy metodologiczne oraz potencjalne naruszenie zaślepienia w części populacji badanej.

Podsumowanie bezpieczeństwa

Analiza różnic w zakresie istotnych parametrów bezpieczeństwa obejmujących m.in. częstość występowania TEAE stopnia 3./4. związanych z leczeniem (30% w grupie leczonej wimsełtynibem vs 3% w ramieniu placebo) oraz częstość SAE (wimsełtynib 7% vs placebo 3%) może wskazywać na zwiększone ryzyko związane ze stosowaniem wimsełtynibu. Należy również zauważyć, że u znacznie większego odsetka osób w ramieniu interwencji wystąpiła modyfikacja dawki spowodowana TEAE (wimsełtynib 57% vs placebo 5%).

Do najczęściej występujących TEAE uznanych za związanych z ocenianą interwencją należą m.in.: obrzęk okołoooczodołowy, obrzęk twarzy, zmęczenie, astenia oraz świąd.

Najczęściej zgłaszanymi TEAE o stopniu nasilenia 3./4. wśród pacjentów leczonych wimsełtynibem były: wzrost stężenia kinazy kreatynowej we krwi (24%), nadciśnienie tętnicze (89%) oraz świąd (23%). Wszystkie te zdarzenia zostały uznane za związane z leczeniem.

Jedyny zgon, który wystąpił w badaniu MOTION spowodowany był upadkiem i nie został uznany za związany z leczeniem.

Oceniając bezpieczeństwo stosowania wimsełtynibu u dorosłych pacjentów z TGCT, należy uwzględnić fakt, że jest to schorzenie o charakterze nieuleczalnym – pomimo, iż może ono powodować istotne objawy kliniczne oraz prowadzić do ograniczenia ruchomości stawów, nie wpływa na ogólną oczekiwaną długość życia. Ponadto należy zaznaczyć, że obecnie dostępne dane dotyczące długotrwałego stosowania wimsełtynibu są niewystarczające, gdyż jedynie niewielka liczba pacjentów była leczona przez okres przekraczający 12 miesięcy. Dodatkowo, wg ChPL Romvimza długoterminowe skutki wynikające z mechanizmu działania leku deplekcji makrofagów, szczególnie w takich narządach jak wątroba, skóra, ośrodkowy układ nerwowy i szpik kostny, są obecnie niepewne.

W związku z powyższym, wnioskowanie dotyczące długoterminowych bezpieczeństwa stosowania wimsełtynibu jest mocno ograniczone.

6. Ocena wpływu na budżet

6.1. Oszacowanie kosztów interwencji i komparatora

6.1.1. Założenia

- Do oszacowania kosztów wykorzystano dawkowanie przedstawione w ChPL Romvimza: „Zalecana dawka to 30 mg przyjmowane dwa razy na tydzień w odstępie co najmniej 72 godzin, dopóki obserwuje się korzyści lub do czasu wystąpienia nieakceptowalnej toksyczności.”
- W badaniu rejestracyjnym MOTION nie oceniano czasu wolnego od progresji choroby (ang. *progression-free survival*, PFS). Oszacowano roczny koszt terapii wimsełtynibem.
- W kosztach terapii uwzględniono koszt leku Romvimza, nie uwzględniono kosztów dodatkowych. Ze względu na wysoką cenę leku, inne koszty dodatkowe stanowią niewielką część kosztów całkowitych.
- Cenę produktu leczniczego Romvimza pozyskano ze strony internetowej¹⁴.
- Do przeliczenia ceny z waluty lokalnej, czyli euro na złote polskie, użyto średniego kursu NBP z dnia 15.01.2026 r., wynoszącego 1 EUR za 4,2068 PLN (Tabela nr 009/A/NBP/2026 z dnia 2026-01-15).
- Z uwagi na brak dostępnej alternatywnej technologii lekowej, odstąpiono od oszacowania kosztów komparatora.

Tabela 8. Dane wejściowe – oceniana technologia

Założenie	Wartość	Źródło
Średni kurs NBP za 1 EUR [PLN]	4,2068	https://nbp.pl/statystyka-i-sprawozdawczosc/kursy/tabela-a/
Dawka zalecana na podanie [mg]	30	ChPL Romvimza
Liczba podań w cyklu	2	ChPL Romvimza
Liczba cykli w roku	52,1	ChPL Romvimza
Cena za mg [PLN]	479,03	www.medizinfuchs.de

6.1.2. Wyniki

Poniżej zaprezentowano oszacowanie rocznych kosztów terapii lekiem Romvimza, zgodnie z dawkowaniem leków opisanym w ChPL.

Tabela 9. Oszacowanie rocznych kosztów terapii ocenianą technologią

Substancja czynna	Dawka na podanie [mg]	Liczba podań w cyklu	Liczba cykli w roku	Dawka całkowita [mg]	Cena za mg [PLN]	Koszt na rok [PLN]
1	2	3	4	5=2x3x4	6	7=5x6
wimsełtynib	30	2	52,1	3 126	479,03	1 497 443

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

Tabela 10. Oszacowanie rocznych kosztów terapii ocenianą technologią w wariantach minimalnym i maksymalnym

Wariant	Koszt terapii ocenianą technologią [PLN]
Minimalny (-20% ceny Romvimza)	1 197 954
Średni	1 497 443
Maksymalny (+20% ceny Romvimza)	1 796 931

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

¹⁴ <https://www.medizinfuchs.de/ROMVIMZA%2B30mg%2BHartkapseln.html?sac=1> [dostęp: 16.01.2026].

6.2. Wpływ na budżet Funduszu Medycznego

6.2.1. Założenia

- Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w celu prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) ze środków Funduszu Medycznego, w przypadku podjęcia decyzji o objęciu refundacją ocenianej technologii.
- W analizie przyjęto oszacowaną w rozdziale 3. wielkość populacji docelowej w I. i w II. roku.
- Koszty leku przyjęto zgodnie z oszacowaniami przedstawionymi w rozdziale 6.1.

Wszystkie ograniczenia dot. szacowania populacji oraz kosztów terapii stanowią ograniczenia analizy wpływu na budżet Funduszu Medycznego.

Tabela 11. Dane wejściowe uwzględnione w analizie wpływu na budżet Funduszu Medycznego

Parametr	I. rok			II. rok		
	Wartość podstawowa	Zakres zmienności (min; max)		Wartość podstawowa	Zakres zmienności (min; max)	
Liczebność populacji docelowej	120	min	100	130	min	110
		max	140		max	150
Koszt leku	1 497 443	min	1 197 954	1 497 443	min	1 197 954
		max	1 796 931		max	1 796 931

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

6.2.2. Wyniki

Tabela 12. Wyniki analizy wpływu na budżet Funduszu Medycznego

Wariant	I. rok	II. rok
minimalny	119 795 400	131 774 940
podstawowy	179 693 160	194 667 590
maksymalny	251 570 340	269 539 650

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

6.3. Przegląd opublikowanych analiz HTA

W celu odnalezienia zagranicznych analiz ekonomicznych dotyczących oceny farmakoekonomicznej wimsełtynibu we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z objawowym TGCT związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, przeprowadzono przegląd medycznych baz informacji Medline (przez PubMed). Przeszukania źródeł informacji dokonano w dniu 15.01.2026 r. Zastosowana w bazie strategia wyszukiwania została przedstawiona w załączniku 9.7.

Dodatkowo dokonano przeszukania wolnotekstowego przy zastosowaniu słów kluczowych: Romvimza i wimsełtynib w wyszukiwarce internetowej Google oraz stron internetowych następujących agencji HTA i organizacji:

- Wielka Brytania – <http://www.nice.org.uk/>;
- Szkocja – <http://www.scottishmedicines.org.uk/>;
- Walia – <http://www.awmsg.org/>;
- Irlandia – <http://www.ncpe.ie/>;
- Kanada – <https://www.cda-amc.ca/>;
- Francja – <http://www.has-sante.fr/>;
- Holandia – <http://www.zorginstituutnederland.nl/>;
- Niemcy – <https://www.iqwig.de/>;

- Szwecja – <https://www.tlv.se/>.

W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego oraz w ramach przeszukiwania stron internetowych zagranicznych agencji i organizacji HTA nie odnaleziono analiz ekonomicznych dla leku Romvimza.

6.4. Ograniczenia oceny wpływu na budżet

- Nie uwzględniono ewentualnych mechanizmów RSS dla ocenianej technologii.
- W kosztach terapii uwzględniono jedynie koszt leku Romvimza, nie uwzględniono natomiast kosztów dodatkowych.
- Cenę produktu leczniczego Romvimza pozyskano z niemieckiej strony internetowej.
- Wszystkie ograniczenia dotyczące szacowanej liczby populacji docelowej przedstawione w rozdziale 3. stanowią również ograniczenia oceny wpływu na budżet.

6.5. Podsumowanie oceny wpływu na budżet

Oszacowany, roczny koszt leczenia technologią Romvimza wyniósł ok. 1,5 mln PLN. W przypadku podjęcia decyzji o refundacji ocenianej technologii, prognozowany wpływ na budżet Funduszu Medycznego wyniesie ok. 180 mln zł w I roku i ok. 195 mln w II roku. Należy podkreślić, że brakuje danych na temat liczby pacjentów, którzy ostatecznie skorzystają z leczenia wimseltynibem (roczną wielkość populacji docelowej oszacowano w oparciu o liczbę pacjentów, u których sprawozdano kod ICD-10: M12.2 – guzkowe zapalenie błony maziowej stawów (rozłana postać choroby)). Przedstawione oszacowanie nie uwzględnia również ewentualnych mechanizmów dzielenia ryzyka (RSS), które mogłyby wpłynąć na rzeczywiste koszty po stronie płatnika.

W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego oraz w ramach przeszukiwania stron internetowych zagranicznych agencji i organizacji HTA nie odnaleziono analiz ekonomicznych dla leku Romvimza.

7. Przegląd rekomendacji refundacyjnych

W celu odnalezienia rekomendacji finansowych dotyczących stosowania wimseltynibu we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z objawowym TGCT związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność, przeprowadzono wyszukiwanie na stronach następujących agencji HTA oraz instytucji działających w ochronie zdrowia:

- Wielka Brytania – <http://www.nice.org.uk/>;
- Szkocja – <http://www.scottishmedicines.org.uk/>;
- Walia – <http://www.awmsg.org/>;
- Irlandia – <http://www.ncpe.ie/>;
- Kanada – <https://www.cda-amc.ca/>;
- Francja – <http://www.has-sante.fr/>;
- Holandia – <http://www.zorginstituutnederland.nl/>;
- Niemcy – <https://www.g-ba.de/>;
- Szwecja – <https://www.tlv.se/>.

Wyszukiwanie przeprowadzono dnia 15.01.2026 r. przy zastosowaniu słowa kluczowego Romvimza i wimseltynib. Szczegóły przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 13. Rekomendacje refundacyjne dla produktu leczniczego

Organizacja kraj, rok	Wskazanie	Rekomendacja	Treść i uzasadnienie
National Institute for Health and Care Excellence NICE Wielka Brytania 2025 Link	W leczeniu guzów olbrzymiokomórkowych pochewki ścięgna, gdy zabieg chirurgiczny jest niewskazany.	Zawieszona	Przewidywana data publikacji: do potwierdzenia.
Zorginstituut Nederland, ZIN 2026 Holandia Link	W zakresie przewidzianym w kontekście leczenia medycznego.	W trakcie	Romvimza znajduje się na liście leków do przeglądu w ramach blokady dla drogich leków (nl. <i>sluis voor dure geneesmiddelen</i>). W blokadzie umieszczane są tylko leki lub zabiegi o wysokiej cenie lub wysokim ryzyku finansowym. Lek ten oczekuje na dalsze analizy porównujące z obecnym standardem opieki, biorąc po uwagę zaproponowaną cenę w odniesieniu do aktualnie dostępnych terapii.
Gemeinsamer Bundesausschuss G-BA 2025 Niemcy Link	Objawowe guzy olbrzymiokomórkowe pochewki ścięgna	W trakcie	Decyzja spodziewana w połowie kwietnia 2026 roku.

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie stron internetowych podanych w powyższej tabeli.

Podsumowanie

W wyniku wyszukiwania nie zidentyfikowano żadnych rekomendacji refundacyjnych. Odnotowano jedynie informację o trwającej ocenie w Holandii i Niemczech (decyzja oczekiwana w kwietniu 2026 r.) oraz zawieszonej ocenie w Wielkiej Brytanii.

8. Źródła

Badania pierwotne i wtórne	
Gelderblom 2024	Gelderblom H., Bhadri V., Stacchiotti S. et al., <i>Vimseltinib versus placebo for tenosynovial giant cell tumour (MOTION): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial</i> , Lancet 2024. 403(10445): 2709–2719. doi:10.1016/S0140-6736(24)00885-7.
Gelderblom 2024	Gelderblom H., Razak A.A., Taylor M.H. et al., <i>CSF1R Inhibition in Patients with Advanced Solid Tumors or Tenosynovial Giant Cell Tumor: A Phase I Study of Vimseltinib</i> , Clin Cancer Res. 2024. 30(18): 3996–4004. doi: 10.1158/1078-0432.CCR-24-0103.
NCT05059262	https://clinicaltrials.gov/study/NCT05059262 [dostęp: 12.01.2026].
Rekomendacje kliniczne i finansowe	
ESMO 2021	European Society for Medical Oncology, 2021 https://www.annalsofoncology.org/article/S0923-7534(21)02184-0/pdf [dostęp: 10.02.2026].
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss, 2025 https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1274/ [dostęp: 15.01.2026].
NCCN 2026	National Comprehensive Cancer Network v.1.2026, 2026 https://www.nccn.org/login?ReturnURL=https://www.nccn.org/professionals/physician_gls/pdf/sarcoma.pdf [dostęp: 10.02.2026].
NICE 2025	National Institute for Health and Care Excellence, 2025 https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta11640 [dostęp: 15.01.2026].
Stacchiotti 2023	A Consensus Paper from the Community of Experts, 2023 https://www.cancertreatmentreviews.com/action/showPdf?pii=S0305-7372%2822%2900160-8 [dostęp: 10.02.2026].
ZIN 2026	Zorginstituut Nederland, 2026 https://www.zorginstituutnederland.nl/wat-wij-doen/programmas-en-samenwerkingsverbanden/horizonscan-geneesmiddelen/sluit-voor-dure-geneesmiddelen/overzicht-geneesmiddelen-in-de-sluit [dostęp: 15.01.2026].
Pozostałe publikacje	
ChPL Romvimza	Charakterystyka Produktu Leczniczego Romvimza, https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/romvimza-epar-product-information_pl.pdf [dostęp: 19.12.2025].
EPAR Romvimza	European Public Assessment Report Romvimza, https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/romvimza-epar-public-assessment-report_en.pdf [dostęp: 19.12.2025].
EudraVigilance	https://www.adrreports.eu/en/disclaimer.html [dostęp: 20.01.2026].
FDA FAERS	FDA Adverse Event Reporting System (FAERS) Public Dashboard, https://fis.fda.gov/sense/app/95239e26-e0be-42d9-a960-9a5f7f1c25ee/sheet/45beeb74-30ab-46be-8267-5756582633b4/state/analysis [dostęp: 20.01.2026].
Healey 2020	Healey J.H., Bernthal N. M. oraz van de Sande M., <i>Management of Tenosynovial Giant Cell Tumor: A Neoplastic and Inflammatory Disease</i> , J Am Acad Orthop Surg Glob Res Rev. 2020. 4(11): e20.00028. doi: 10.5435/JAAOSGlobal-D-20-00028.
Kager 2022	Kager M., Kager R., Falek P. et al., <i>Tenosynovial giant cell tumor</i> , FOLIA MEDICA CRACOVIENSIA 2022. LXII (2): 93-107, doi: 10.24425/fmc.2022.141702.
Medizinfuchs	https://www.medizinfuchs.de/ROMVIMZA%2B30mg%2BHartkapseln.html?sac=1 [dostęp: 16.01.2026].
Obwieszczenie MZ	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2026 r. https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-18-grudnia-2025-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-stycznia-2026-r [dostęp: 9.01.2026].
Termedia	https://www.termedia.pl/onkologia/Vimseltinib-w-leczeniu-pacjentow-z-TGCT,61613.html [dostęp: 15.01.2026].
URPL	Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych, https://www.gov.pl/web/urpl/komunikaty-bezpieczenstwa3 [dostęp: 20.01.2026].
VigiAccess	WHO VigiAccess, https://vigiaccess.org/ [dostęp: 20.01.2026].

9. Załączniki

9.1. Rekomendacje i wytyczne kliniczne

Tabela 14. Przegląd interwencji wg wytycznych praktyki klinicznej we wskazaniu: leczenie dorosłych pacjentów z guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (TGCT)

Nazwa organizacji, skrót, rok, kraj	Rekomendowane interwencje
European Society for Medical Oncology ESMO 2021 (Europa) Link	<u>Systemic agents in treatment of patients with TGCT:</u> • pexidartinib; • imatinib; • nilotinib.
A Consensus Paper from the Community of Experts 2023 (Europa) Link	<u>TGCT that can be removed but with unacceptable amount of risk, complication, or suffering</u> <u>Systematic therapy:</u> • medicines that target the abnormal production of CSF1, a major driver of the growth of TGCT, are considered standard (II, A): ◦ pexidartinib; ◦ imatinib; ◦ nilotinib; • in countries without approved medicines, the preferred option should be clinical trial participation or off-label drugs that target CSF1 (e.g., imatinib, nilotinib) when available (IV,A). Clinical trial medicines: ◦ emactuzumab; ◦ cabiralizumab; ◦ vimseltinib. Level of evidence: I – Highly reliable evidence. II – Moderately reliable evidence. III – Some evidence, with some reliability. IV – Some evidence, less reliability. V – Opinion or experience based. Grade of recommendation: A – Strongly recommended.
National Comprehensive Cancer Network, NCCN 2026 v.1.2026 (USA) Link	<u>Systematic therapy and regimens with activity for patients with tenosynovial giant cell tumor (TGCT)</u> <u>Preferred regimens:</u> • pexidartinib (cat. 1); • vimseltinib (cat.1). <u>Useful in certain circumstances:</u> • imatinib; • nilotinib. NCCN Categories of Evidence and Consensus: Category 1 – Based upon high-level evidence (≥1 randomized phase 3 trials or high-quality, robust meta-analyses), there is uniform NCCN consensus (≥85% support of the Panel) that the intervention is appropriate. Category 2A – Based upon lower-level evidence, there is uniform NCCN consensus (≥85% support of the Panel) that the intervention is appropriate. Category 2B – Based upon lower-level evidence, there is NCCN consensus (≥50%, but <85% support of the Panel) that the intervention is appropriate. Category 3 – Based upon any level of evidence, there is major NCCN disagreement that the intervention is appropriate. All recommendations are category 2A unless otherwise indicated.

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

9.2. Strategia wyszukiwania

Tabela 15. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych dla leku Romvimza w bazie Cochrane Library

Nr	Kwerenda	Liczba rekordów (9.01.2026 r.)
#1	"randomized controlled trial" OR "controlled clinical trial" OR "randomized" OR "placebo" OR "clinical trials as topic" OR "randomly" OR "trial"	1 944 549
#2	Romvimza OR wimseltinib	14
#3	"tenosynovial giant cell tumour" OR "TGCT"	59
#4	#1 AND #2 AND #3	13

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

Tabela 16. Strategia wyszukiwania doniesień naukowych dla leku Romvimza w bazie Medline via PubMed

Nr	Kwerenda	Liczba rekordów (9.01.2026 r.)
#1	"randomized controlled trial" OR "controlled clinical trial" OR "randomized" OR "placebo" OR "clinical trials as topic" OR "randomly" OR "trial"	2 358 716
#2	Romvimza OR wimseltinib	20
#3	"tenosynovial giant cell tumour" OR "TGCT"	1 380
#4	#1 AND #2 AND #3	5

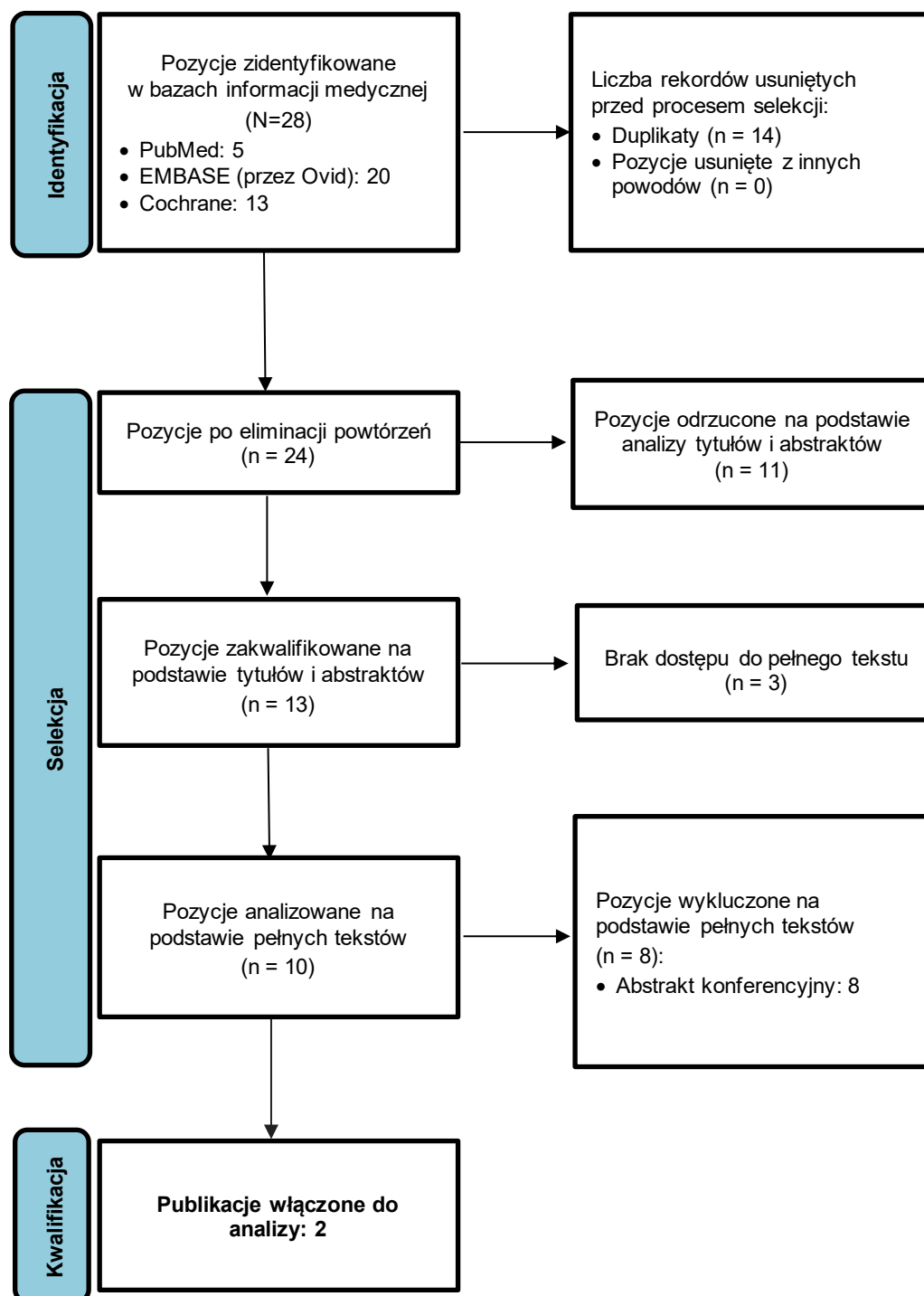
Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

Tabela 17. Strategia wyszukiwania doniesień dla leku Romvimza w bazie Embase via Ovid

Nr	Kwerenda	Liczba rekordów (9.01.2026 r.)
#1	"random*".af.	2 890 773
#2	randomized controlled trial.af.	1 459 665
#3	controlled clinical trial.af.	503 011
#4	placebo.af.	653 395
#5	clinical trials.af.	1 157 495
#6	(Romvimza OR wimseltinib).af.	88
#7	(tenosynovial giant cell tumour OR TGCT).af.	1 863
#8	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5	3 982 200
#9	#6 AND #7 AND #8	20

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

9.3. Diagram selekcji publikacji



9.4. Kryteria populacji docelowej

Tabela 18. Kryteria populacji docelowej na podstawie badania rejestracyjnego i ChPL Romvimza

Badanie rejestracyjne	ChPL
Kryteria włączenia/ rozpoczęcia leczenia/ badania przy kwalifikacji	
Wiek ≥ 18 lat.	4.1 Wskazania do stosowania „Produkt leczniczy Romvimza jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i> , TGCT) (...).”
Histologicznie potwierdzona diagnoza TGCT. W przypadku braku dostępnej histologii/patologii wymagane wykonanie biopsji guza w celu potwierdzenia rozpoznania TGCT. Uczestnik powinien mieć TGCT w pojedynczym stawie, w którym możliwa jest ocena zakresu ruchu (ROM).	4.1 Wskazania do stosowania „Produkt leczniczy Romvimza jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i> , TGCT) (...).”
Choroba, w której resekcja chirurgiczna może potencjalnie spowodować pogorszenie ograniczenia funkcji stawu lub ciężkie powikłania – oceniona przez chirurga lub wielodyscyplinarny zespół ds. guzów.	4.1 Wskazania do stosowania „Produkt leczniczy Romvimza jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i> , TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność.”
Choroba objawowa z co najmniej umiarkowanym bólem lub co najmniej umiarkowaną sztywnością (zdefiniowaną jako wynik ≥ 4 w skali, gdzie 10 oznacza najgorszy stan) w okresie przesiewowym i udokumentowana w dokumentacji medycznej.	4.1 Wskazania do stosowania „Produkt leczniczy Romvimza jest wskazany do leczenia dorosłych pacjentów z objawowym guzem olbrzymiokomórkowym pochewki ścięgna (ang. <i>tenosynovial giant cell tumour</i> , TGCT) związanym z klinicznie istotnym pogorszeniem funkcjonowania fizycznego, u których wyczerpano opcje leczenia chirurgicznego lub spowodowałyby one nieakceptowalne powikłania lub niepełnosprawność.”
Uczestnik powinien wypełnić kwestionariusze przez 14 kolejnych dni w okresie przesiewowym i spełnić minimalne wymagania określone w harmonogramie ocen PRO (ang. <i>Patient-Reported Outcomes</i>) w protokole badania.	Brak odniesienia w ChPL.
Schemat leczenia przeciwbólowego, jeśli stosowany, musi być stabilny (tj. bez zmiany dawki) przez co najmniej 2 tygodnie przed pierwszą dawką badanego leku, według oceny badacza.	Brak odniesienia w ChPL.
Choroba mierzalna zgodnie z RECIST v1.1 z co najmniej jedną zmianą o minimalnym rozmiarze 2 cm, ocenioną na podstawie obrazów MRI przez centralnego radiologa.	Brak odniesienia w ChPL.
Prawidłowa funkcja narządów i rezerwa szpiku kostnego, potwierdzona następującymi badaniami laboratoryjnymi wykonanymi w ciągu 21 dni przed pierwszą dawką badanego leku: - Funkcja szpiku: bezwzględna liczba neutrofilii (ANC) $\geq 1500/\mu\text{L}$; hemoglobina ≥ 10 g/dL; liczba płytek $\geq \text{LLN}$. - Funkcja wątroby: całkowita bilirubina w surowicy $\leq \text{ULN}$; AST/ALT $\leq \text{ULN}$ - Funkcja nerek: klirens kreatyniny ≥ 50 ml/min (na podstawie zbiórki moczu lub wzoru Cockcrofta-Gaulta). - Elektrolity $\geq \text{LLN}$: potas, magnez, wapń.	4.2 Dawkowanie i sposób podawania Zaburzenia czynności nerek „Nie zaleca się dostosowania dawki u pacjentów z łagodnymi lub umiarkowanymi zaburzeniami czynności nerek. Brak danych klinicznych dotyczących pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności nerek. Z tego powodu produktu leczniczego Romvimza nie należy stosować u tych pacjentów (...).” Zaburzenia czynności wątroby „Nie zaleca się dostosowania dawki u pacjentów z łagodnymi zaburzeniami czynności wątroby (stopień A według klasyfikacji Childa-Pugha). (...) Brak danych klinicznych dotyczących pacjentów z umiarkowanymi i ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby. Z tego powodu produktu leczniczego Romvimza nie należy stosować u tych pacjentów. (...)”
Zdolność przyjmowania leków doustnych.	4.2 Dawkowanie i sposób podawania Sposób podawania „Produkt leczniczy Romvimza należy przyjmować doustnie, z posiłkiem lub bez posiłku. (...)”
- Negatywny wynik testu ciążowego β-hCG w surowicy u kobiet w wieku rozrodczym, w okresie przesiewowym. - Zgoda się na przestrzeganie wymagań dotyczących antykoncepcji określonych w protokole.	4.3 Przeciwwskazania „Ciąża (...).” 4.6 Wpływ na płodność, ciążę i laktację Kobiety w wieku rozrodczym, antykoncepcja u kobiet „Kobiety w wieku rozrodczym muszą stosować skuteczną metodę antykoncepcji w trakcie leczenia wimseltynibem i przez 30 dni po przyjęciu ostatniej dawki. Przed rozpoczęciem stosowania

Badanie rejestracyjne	ChPL
	wimseltynibu i w czasie leczenia konieczne należy sprawdzać, czy kobiety w wieku rozrodczym są w ciąży. Nie badano wpływu wimseltynibu na hormonalne środki antykoncepcyjne. Z tego powodu należy dodatkowo stosować metodę barierową antykoncepcji, jeśli stosowane są hormonalne środki antykoncepcyjne."
Uczestnik jest w stanie zrozumieć i przestrzegać protokołu oraz podpisał formularz świadomej zgody (ang. <i>informed consent form</i> , ICF). Podpisany ICF musi być uzyskany przed wykonaniem jakichkolwiek procedur specyficznych dla badania.	Brak odniesienia w ChPL.
Gotowość i zdolność do wypełniania ocen PRO na urządzeniu elektronicznym.	Brak odniesienia w ChPL.
Kryteria wykluczenia/ monitorowania leczenia	
Wcześniejsze stosowanie terapii ogólnoustrojowej (badanej lub zatwierdzonej) ukierunkowanej na CSF1 lub CSF1R, w tym wimseltynibu. Wcześniejsze leczenie imatynibem i nilotynibem jest dozwolone.	Brak odniesienia w ChPL.
Leczenie TGCT, w tym terapia badawcza, w okresie przesiewowym.	Brak odniesienia w ChPL.
Uczestnicy nie mogą brać udziału w trwającym ani wcześniejszym badaniu nad ocenianym lekiem w innym wskazaniu niż TGCT w ciągu 30 dni przed przesiewem. Udział w badaniu nieinterwencyjnym (w tym obserwacyjnym) jest dozwolony.	Brak odniesienia w ChPL.
Rozpoznane przerzuty TGCT lub inny aktywny nowotwór wymagający równoczesnego leczenia (wyjątki mogą być rozpatrywane indywidualnie w zależności od typu guza, stadium, lokalizacji, planowanego leczenia i oczekiwanej rekonwalescencji po konsultacji i zatwierdzeniu przez Sponsora).	Brak odniesienia w ChPL.
Wydłużenie odstępu QT skorygowanego według wzoru Fridericia (QTcF) w badaniu wyjściowym, potwierdzone wielokrotnym pomiarem QTcF >450 ms u mężczyzn lub >470 ms u kobiet, lub wywiad w kierunku zespołu długiego QT.	Brak odniesienia w ChPL.
Równoczesne stosowanie jakichkolwiek zabronionych leków: • paracetamol w dawce >3 g/dobę; • inhibitory pompy protonowej przyjęte w ciągu 4 dni przed pierwszą dawką badanego leku; • leki będące substratami BCRP lub OCT2 przyjęte w ciągu co najmniej 4 dni lub 5× okres półtrwania (w zależności od tego, co było dłuższe) przed pierwszą dawką badanego leku; • leki o znanym ryzyku wydłużenia odstępu QT w ciągu co najmniej 14 dni lub 5× okres półtrwania (w zależności od tego, co było dłuższe) przed pierwszą dawką badanego leku. • profilaktyczne stosowanie czynników wzrostu mieloidalnego (np. G-CSF, GM-CSF).	4.5 Interakcje z innymi produktami leczniczymi i inne rodzaje interakcji <i>Inhibitory pompy protonowej</i> „(...) Jednoczesne podawanie wimseltynibu z rabeprazolem (inhibitorem pompy protonowej) (...) zmniejszało C _{max} oraz AUC _{0-t} i AUC _{0-inf} wimseltynibu o około 21% do 26%, co nie jest istotne klinicznie. Nie ma konieczności dostosowania dawki.” <i>Substraty białka oporności raka piersi (BCRP)</i> „ (...) Należy unikać jednoczesnego stosowania z substratami BCRP. (...)” <i>Substraty transportera kationów organicznych 2 (OCT2)</i> „(...) Należy unikać jednoczesnego stosowania z substratami OCT2. (...)”
Duży zabieg chirurgiczny w ciągu 14 dni przed pierwszą dawką badanego leku – po dużych zabiegach >14 dni przed pierwszą dawką wszystkie rany chirurgiczne muszą być wygojone i wolne od infekcji lub rozejścia.	Brak odniesienia w ChPL.
Jakiegokolwiek istotne klinicznie choroby współistniejącej, takie jak znacząca współistniejąca artropatia niezwiązana z TGCT w zajętych stawach, lub inne poważne schorzenia medyczne lub psychiatryczne, a także znane, aktualne nadużywanie alkoholu, które zdaniem badacza mogą utrudniać przestrzeganie protokołu, wpływać na interpretację wyników badania lub narażać uczestnika na ryzyko.	Brak odniesienia w ChPL.
Aktywna choroba wątroby lub dróg żółciowych, w tym niealkoholowe zapalenie wątroby (NASH) lub marskość; zespół złego wchłaniania lub inne schorzenie mogące wpływać na wchłanianie doustne, według oceny badacza.	Brak odniesienia w ChPL.
Znana aktywna infekcja HIV, ostre lub przewlekłe zapalenie wątroby typu B, ostre lub przewlekłe zapalenie wątroby typu C, lub znana aktywna infekcja prątkiem gruźlicy.	Brak odniesienia w ChPL.
Ciąża lub karmienie piersią.	4.6 Wpływ na płodność, ciążę i laktację <i>Ciąża</i>

Badanie rejestracyjne	ChPL
	„(...) Wimseltynib jest przeciwwskazany do stosowania u kobiet w ciąży (...)” <i>Karmienie piersią</i> „(...) Podczas leczenia wimseltynibem kobiety nie powinny karmić piersią.”
Znana alergia lub nadwrażliwość na którykolwiek składnik badanego leku.	4.3 Przeciwwskazania „Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą (...)”

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT na podstawie EPAR Romvimza, ChPL Romvimza i <https://clinicaltrials.gov/ct2/home> [dostęp: 14.01.2026].

9.5. Ocena jakości badań

Tabela 19. Ocena ryzyka błędu systematycznego wg Cochrane RoB 2

Oceniana domena	Ryzyko oceniono jako
Ryzyko błędu wynikające z procesu randomizacji	niskie
Ryzyko błędu wynikające z odstępstw od przypisanych interwencji (efekt przypisania do interwencji)	niskie
Brakujące dane o wynikach	niskie
Ryzyko błędu przy pomiarze punktu końcowego	niskie
Ryzyko błędu przy selekcji raportowanego wyniku	niskie
Ogólne ryzyko błędu	niskie

9.6. Strategia wyszukiwania HTA

Tabela 20. Strategia wyszukiwania analiz ekonomicznych w bazie Medline via PubMed dla leku Romvimza (data ostatniego wyszukiwania: 15.01.2026 r.)

Nr	Kwerenda	Liczba rekordów
#1	(((Cost*) OR (Economic*)) OR (Pharmacoeconomic*)) OR (CMA)) OR (CUA)) OR (CEA)	2 012 120
#2	wimseltinib OR Romvimza	20
#3	#1 AND #2	1

Źródło: Opracowanie własne AOTMiT.

9.7. Diagram selekcji publikacji HTA

