



Warszawa, dnia 11 lutego 2025 r.

---

Znak sprawy: BP.422.3.2025.MKS  
Kontakt: Michał K. Skroński, starszy specjalista  
e-mail: [m.skronski@aotm.gov.pl](mailto:m.skronski@aotm.gov.pl)  
tel.: 22 101 46 48

---

Pan  
**Marek Kos**  
Podsekretarz Stanu  
Ministerstwo Zdrowia

Szanowny Panie Ministrze,

w odpowiedzi na zlecenie Ministra Zdrowia przekazane pismem z dnia 21 listopada 2024 r. (znak: PLR2.4504.776.2024.ZL), wydane na podstawie art. 16a ust. 5 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych i dotyczące wydania opinii dotyczącej zmiany brzmienia treści programu lekowego B.71. Pismem Ministra Zdrowia z dnia 30 stycznia 2025 r. (znak: PLR2.4504.93.2025.DMS) wyrażono zgodę na termin realizacji przypadający na dzień 12 lutego 2025 r. Uprzejmie proszę o zapoznanie się z przedstawioną poniżej opinią w przedmiotowej sprawie:

**Opinia Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr 12/2025 z dnia 11 lutego 2025 r. w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.71 Leczenie terapią bezinterferonową chorych na przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C (ICD-10: B18.2).**

## Metodyka oceny

Główna zmiana dotyczy kryterium kwalifikacji dla pacjentów. Pozostałe proponowane zmiany dotyczą badań wykonywanych przy kwalifikacji do leczenia oraz badań wykonywanych podczas monitorowania leczenia,

- w zakresie kryteriów kwalifikacji zaproponowano usunięcie kryterium minimalnego wieku chorego, aktualnie określonego jako od ukończenia 18. roku życia;
- ponadto zmodyfikowano pakiet badań diagnostycznych poprzez:
  - dodanie przy kwalifikacji możliwości jakościowego oznaczenia HCV RNA obok dopuszczalnego aktualnie wyłącznie oznaczenia metodą ilościową,
  - usunięcie monitorowania stężenia bilirubiny oraz albuminy, czasu lub wskaźnika protrombinowego.

Celem oceny zasadności zmiany opisu programu lekowego przeprowadzono prace analityczne obejmujące kilka obszarów:

- I. Rozpatrzenie aktualnego oraz proponowanego brzmienia wskazań pod kątem zgodności z Charakterystyką Produktu Leczniczego oraz wytycznymi klinicznymi.
- II. Przegląd systematyczny dowodów naukowych celem oceny skuteczności i bezpieczeństwa analizowanych technologii medycznych.
- III. Prognoza zmian w zakresie liczebności populacji i wynikający z niej wpływ na wydatki płatnika publicznego.

## Podsumowanie dowodów naukowych

### Charakterystyka Produktu Leczniczego

Aktualnie w ramach programu lekowego B.71 dostępne są następujące technologie medyczne: sofosbuwir w skojarzeniu z ledipaswirem (produkt leczniczy Harvoni) lub welpataswirem (Epclusa), glekaprewir z pibrentaswirem (Maviret) oraz trójskładnikowa terapia sofosbuwir + welpataswir + woksyleprewir (Vosevi).

Zgodnie z ChPL bezpieczeństwo stosowania i skuteczność zostało określone u pacjentów w wieku 3 lat i starszych dla produktów Harvoni, Epclusa i Maviret oraz u pacjentów w wieku 12 lat i starszych oraz o masie ciała co najmniej 30 kg w przypadku produktu Vosevi.

Ponadto w treści analizowanych ChPL zgodnie wskazano, że w badaniach rejestracyjnych do oznaczania HCV RNA stosowano jedynie metody ilościowe.

W zakresie badań diagnostycznych wskazano na konieczność monitorowania wskaźnika INR u pacjentów leczonych antagonistami witaminy K<sup>1</sup>.

### Wyniki przeglądu systematycznego

Odnaleziono jeden przegląd systematyczny z metaanalizą, 6 badań o charakterze prospektywnym oraz jedno retrospektywne.

We wszystkich doniesieniach przywołano wyniki prób klinicznych przeprowadzonych w populacji co najmniej od 3. roku życia. Głównym punktem końcowym poddawanym ocenie było uzyskanie trwałej odpowiedzi wirusologicznej po 12 tygodniach. We wszystkich doniesieniach potwierdzono wysoki wskaźnik skuteczności ocenianych technologii w populacjach pediatrycznych, zawierający się w przedziale średnich między 93% a 100%.

## Podsumowanie wytycznych klinicznych

W wyniku wyszukiwania odnaleziono 5 dokumentów. We wszystkich dokumentach odniesiono się do zasadności stosowania analizowanych technologii w populacjach pediatrycznych.

W stanowiskach Polskiego Towarzystwa Hepatologicznego<sup>2</sup>, Amerykańskiego Towarzystwa Badań nad Wątrobą<sup>3</sup> oraz Europejskiego Towarzystwa Gastroenterologii Pediatrycznej, Hepatologii i Żywienia<sup>4</sup> zgodnie wskazano, że w populacji dzieci w wieku 3-11 lat bez marskości lub z marskością skompensowaną zalecane jest stosowanie terapii: sofosbuwir +

---

<sup>1</sup> Zgodnie z rejestracją w URPL na terytorium RP dostępne są dwie substancje z tej grupy – warfaryna i acenokumarol. Rejestracja tych produktów obejmuje przewlekłe stosowanie leczenia przeciwkrzepliwego w profilaktyce zatorowości, zakrzepicy, zawałom mięśnia sercowego, udarom lub zatorom u pacjentów z migotaniem przedsionków. Zarówno w przypadku warfaryny jak i acenokumarolu w ChPL widnieje informacja o ograniczonym doświadczeniu klinicznym w grupie pacjentów pediatrycznych.

<sup>2</sup> PTH: PGE HCV 2023

<sup>3</sup> AASLD&IDSA 2023

<sup>4</sup> ESPGHAN 2024

welpataswir lub glekaprewir + pibrentaswir. W dokumencie Amerykańskich Aktualizowanych Wytycznych<sup>5</sup> praktyki klinicznej dodatkowo wymieniono sofosbuwir + ledipaswir.

## Wpływ na budżet płatnika publicznego

W latach 2015-2024 (I połowa) z leczenia w programie B.71 łącznie skorzystało 54 735 pacjentów, a wydatki płatnika publicznego na finansowanie substancji czynnych wyniosły 1 835 mln zł. Niemniej, liczba pacjentów w poszczególnych latach sprawozdawczych była różna. Obserwowany jest trend zmniejszania liczby leczonych pacjentów, najwięcej leczonych odnotowano w 2017 roku – 12 168 pacjentów, w ostatnim w pełni sprawozdanym 2023 roku 4 828. Mediana wieku wyniosła 53 lata, zakres 18-98 lat. Średnioroczny koszt leczenia wykazuje tendencję malejącą, w roku 2015 wynosił 44 tys. zł a w 2023 roku 21 tys. zł. Biorąc pod uwagę analizę wykonaną na zlecenie Agencji Badań Medycznych<sup>6</sup> inkrementalną populację docelową oszacowano na 59 pacjentów rocznie. Analiza wykazała, że przedmiotowe zmiany mogą wiązać się z dodatkowymi rocznymi wydatkami płatnika oszacowanymi na około milion zł – ■■■■ mln zł. W analizie wrażliwości założono wyższą liczebność populacji – 79 pacjentów, co przełożyłoby się na wydatki rzędu ■■■■ mln zł.

## Podsumowanie

Prezes Agencji biorąc pod uwagę charakterystykę problemu zdrowotnego, odniesienie w wytycznych praktyki klinicznej oraz dokumentach rejestracyjnych **pozytywnie ocenia zasadność** zmiany opisu programu lekowego w zakresie: usunięcia ograniczenia wiekowego pacjentów z jednoznacznym wskazaniem, że ordynacja lekarska będzie obejmowała populację wyłącznie zgodne z ChPL.

W opinii Prezesa Agencji **nie znajduje uzasadnienia** usuwanie możliwości oznaczania albumin, bilirubiny, czasu lub wskaźnika protrombinowego. Parametry te mogą służyć pełnemu monitorowaniu stanu klinicznego chorego. Dodatkowo negatywnie oceniono wyłącznie jakościowe oznaczenie HCV RNA podczas kwalifikacji do leczenia. We wszystkich próbach klinicznych przy kwalifikacji stosowano wyłącznie ilościowe oznaczenie HCV RNA. Dopuszczalne jest późniejsze stosowanie oznaczenia jakościowego, zgodnie z funkcjonującym programem.

Z wyrazami szacunku

PREZES

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

Załączniki

- Opinia Rady Przejrzystości nr 23/2025 z dnia 10 lutego 2025 roku w sprawie zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B. 71. „Leczenie terapią bezinterferonową chorych na przewlekłe wirusowe zapalenie wątroby typu C (ICD-10: B18.2)”
- Raport nr: OT.422.0.77.2024; Zmiany w opisie programu lekowego B.71; Rozszerzenie populacji o pacjentów poniżej 18 r.ż.; Data ukończenia: 7 lutego 2025 r.

Do wiadomości

Pan Jerzy Szafranowicz, Podsekretarz Stanu, Ministerstwo Zdrowia

---

<sup>5</sup> Updated Clinical Guidelines 2024

<sup>6</sup> Sofosbuwir/welpataswir (Eplusa®) w leczeniu dzieci z przewlekłym wirusowym zapaleniem wątroby typu C Analiza wpływu na budżet; Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Agencję Badań Medycznych.