



**Opinia Rady Przejrzystości
nr 77/2025 z dnia 12 maja 2025 roku
w sprawie oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach
programu lekowego B.113. „Leczenie pacjentów z chorobami nerek
(ICD-10 N.18)**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie następujących zmian w ramach programu lekowego B.113. „Leczenie pacjentów z chorobami nerek (ICD-10 N.18):

- *wszystkie proponowane zmiany w kryteriach kwalifikacji do programu;*
- *wszystkie proponowane zmiany w kryteriach wyłączenia;*
- *wszystkie proponowane zmiany w dawkowaniu;*
- *zmiany w zakresie badań przy kwalifikacji za wyjątkiem wymienionych poniżej;*
- *zmiany w zakresie monitorowania leczenia za wyjątkiem wymienionych poniżej;*

oraz

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wprowadzenie następujących zmian w ramach programu lekowego B.113. „Leczenie pacjentów z chorobami nerek (ICD-10 N.18):

- *badania przy kwalifikacji – usunięcie: “badanie krwi z oceną stężenia albuminy, wapnia i fosforanów”;*
- *monitorowanie leczenia – usunięcie: “w badaniach krwi stabilne poziomy stężenie albuminy, potasu, fosforanów, mocznika;” “brak zaburzeń: hiperkaliemia, hiperfosfatemia, kwasica metaboliczna”.*

Uzasadnienie

Minister Zdrowia zlecił ocenę zasadności wprowadzenia zmian w programie lekowym (PL) B.113. „Leczenie pacjentów z chorobami nerek (ICD-10 N.18)” wraz ze wskazaniem potencjalnych wskaźników oceny skuteczności terapii w przypadku zasadności ich zastosowania w przedmiotowym programie. Proponowane zmiany dotyczą kryteriów kwalifikacji i wyłączenia z programu

oraz badań wykonywanych przy kwalifikacji i w trakcie monitorowania leczenia. Zmiany kryteriów kwalifikacji obejmują definicję cech niedożywienia, gdzie zrezygnowano z zapisów odnoszących się do stężenia albuminy i limfocytemii. Dodatkowo złagodzone zapisy odnoszące się do konieczności przestrzegania diety ubogobiałkowej, usuwając wymóg stosowania jej przez co najmniej 3 miesiące przed rozpoczęciem terapii. Ponadto w kryteriach kwalifikacji dodano zapis o zakazie leczenia nerkozastępczego, co jest spójne z analogicznym zapisem w aktualnym programie B.113 w kryteriach wyłączenia. W przypadku kryteriów kwalifikacji, usunięto następujące: „redukcja eGFR < 2 ml/min w ciągu ostatnich 6 miesięcy”; „BMI 18-30 kg/m²”; „proteinuria w zakresie < 2,0 g/g kreatyniny/dobę”; „z następstwami nieprawidłowego lub niewystarczającego metabolizmu białek”; „deklaracja przestrzegania wymaganej diety pod indywidualnym nadzorem dietetyka”; „brak udokumentowanych zaburzeń metabolizmu aminokwasów”. Kryteria kwalifikacji są spójne z ChPL, ale obejmują zawężoną populację. Kryteria kwalifikacji do PL są częściowo zbieżne z zapisami wytycznych klinicznych w zakresie zawartości białka w diecie. Zaproponowane zmiany w kryteriach kwalifikacji zyskały akceptację ekspertów klinicznych.

Proponowane zmiany obejmują także modyfikację kryteriów wyłączenia z PL poprzez nieznaczny zmianę zapisów odnoszących się do rozpoczęcia leczenia nerkozastępczego oraz do braku współpracy pacjenta. Kryteria wyłączenia z PL są częściowo zbieżne z zapisami wytycznych klinicznych – zarówno w projekcie PL, jak i w wytycznych klinicznych dieta niskobiałkowa nie jest zalecana u pacjentów z cechami niedożywienia. Natomiast wymienione w kryteriach wyłączenia osiągnięcie stadium 1 lub 2 PChN jest niemożliwe według opinii ekspertów klinicznych.

Modyfikacje kryteriów kwalifikacji i wyłączenia w większości mają charakter redakcyjny i porządkowy, ale usunięcie górnego limitu BMI może się przełożyć na zwiększenie populacji docelowej PL i wydatków po stronie płatnika publicznego.

W rozdziale dotyczącym dawkowania dokonano niewielkiej zmiany w zapisie dot. diety stosowanej w PL. Zapisy dotyczące przedziałów spożycia białka oraz dawkowania ketoanalogów nie uległy zmianie. Zapisy są zgodne z ChPL i wytycznymi klinicznymi.

W przypadku badań diagnostycznych wykonywanych przy kwalifikacji do programu lekowego usunięto badania oznaczające białko, fosfor, mocznik, wodorowęglany, glukozę, fosfatazę zasadową, liczby limfocytów, białko C-reaktywne i ocenę BMI. Do badań diagnostycznych dodano oznaczenie poziomu hemoglobiny glikowanej. Natomiast przeformułowano zapisy odnoszące się do oznaczeń poziomu kreatyniny, eGFR, elektrolitów, mocznika i kwasu moczowego oraz dobowego spożycia białka w wywiadzie dietetycznym.

Badania przy kwalifikacji do PL są częściowo zgodne z ChPL i częściowo zgodne z wytycznymi. Zarówno w projekcie PL, jak i w wytycznych wskazuje się na konieczność oznaczania poziomu kreatyniny i eGFR, badanie moczu oraz poziomu hemoglobiny. W wytycznych wskazuje się natomiast również na konieczność oznaczania stężenia albuminy w moczu lub wskaźnika albumina/kreatynina (ACR) oraz wykonywania badań obrazowych (USG układu moczowego). Eksperti kliniczni mieli różne opinie na temat badań przy kwalifikacji do leczenia, ale nie wskazywali na konieczność uzupełnienia listy badań. Jednakże, ze względu na przeciwwskazania do stosowania preparatu Ketosteril w PL powinny zostać umieszczone badania umożliwiające wykrycie hiperkalcemii i zaburzenia metabolizmu aminokwasów przy kwalifikacji, a ze względu na zalecenia wytycznych należy rozważyć uwzględnienie oznaczania stężenia albuminy w moczu lub wskaźnika albumina/kreatynina (ACR) oraz wykonywania badań obrazowych (USG układu moczowego).

W zakresie monitorowania leczenia usunięto zapisy dotyczące badań i konsultacji wykonywanych w określonym czasie, wprowadzając ocenę dobowego spożycia białka w wywiadzie dietetycznym, poziomu kreatyniny i eGFR. Wszyscy eksperci zgadzają się, że uproszczenie monitorowania leczenia poprzez redukcję mniej istotnych badań ułatwi pracę lekarzowi. Eksperti wskazują, że można dodać badanie ogólne moczu i poziom albumin co 6 miesięcy. W ChPL wskazano, że należy systematycznie kontrolować stężenie wapnia w surowicy krwi oraz zapewnić wystarczającą ilość spożywanych kalorii. Wskazano również, że w przypadku jednoczesnego stosowania produktu leczniczego Ketosteril z wodorotlenkiem glinu należy kontrolować stężenie fosforanów. Z tego względu badanie krwi z oceną stężenia: albuminy, wapnia, fosforanów, powinno pozostać. Monitorowanie leczenia w PL częściowo zgodne z wytycznymi. Zarówno w projekcie PL, jak i w wytycznych wskazuje się na konieczność oznaczania poziomu kreatyniny i eGFR. Ponadto w wytycznych wskazuje się na konieczność monitorowania albuminurii [wskaźnik albumina/kreatynina (ACR)], kontroli hemoglobiny (Hgb) u pacjentów z niedokrwistością oraz wykonywania USG nerek. W wytycznych zaleca się również u pacjentów z rozpoznaną niedokrwistością (niezależnie od stopnia zaawansowania PChN) wykonanie oznaczenia: ferrytyny, żelaza, transferyny (i jej wysycenia żelazem), witaminy B12, kwasu foliowego. U dorosłych z GFR < 30 ml/min/1,73 m² (kategorie GFR G4 lub G5) zalecane jest także oznaczanie stężenia wapnia, fosforanów i parathormonu (PTH) w surowicy. Należy rozważyć uzupełnienie listy badań o te wskazane w wytycznych.

W propozycji PL zmieniono także wskaźniki efektywności, modyfikując wskaźnik hamowania progresji choroby odnosząc go do spadku eGFR i poziomu kreatyniny, oraz dodając ocenę stopnia odżywienia według skali SGA i stężenie elektrolitów w surowicy. W wytycznych PTNefro 2024, AAPA 2024 i NICE 2021 nie znaleziono

bezpośrednich informacji na temat wskaźników mierzących skuteczność leczenia ketoanalogami aminokwasów. W zakresie wskaźników oceny skuteczności terapii wszyscy eksperci wskazali eGFR. Dodatkowo jeden z ekspertów wskazał na konieczność oceny gospodarki elektrolitowej i kwasowo-zasadowej oraz zaburzeń metabolicznych, a drugi - ocenę stężenia mocznika w surowicy oraz na ocenę braku zaburzeń: hiperkalemi, hiperfosfatemi i kwasicy metabolicznej.

Wytyczne ogólnie wymieniają parametry zalecane do oceny skuteczności leczenia pacjentów z PChN jak ocena eGFR i albuminurii. Wytyczne zalecają monitorowanie zmian eGFR (spadek >20% lub >30% przy niektórych terapiach) oraz albuminurii (preferowany wskaźnik albumina/kreatynina - ACR) w celu identyfikacji progresji choroby. Dodatkowo zalecane jest monitorowanie gospodarki elektrolitowej, niedokrwistości i zaburzeń mineralno-kostnych. Z tego względu zapisy dotyczące monitorowanie skuteczności leczenia usunięte w propozycji zmian powinny pozostać "w badaniach krwi stabilne poziomy stężenie albuminy, potasu, fosforanów, mocznika;" "brak zaburzeń: hiperkaliemia, hiperfosfatemia, kwasica metaboliczna".

Wszyscy eksperci zwrócili uwagę na potrzebę zwiększenia dostępności dietetyków oraz regularnych konsultacji dietetycznych dla pacjentów z przewlekłą chorobą nerek.

Proponowane zmiany zapisów w PL będą skutkowały zwiększeniem wydatków płatnika publicznego: o 360 tys. PLN, 510 tys. PLN i 690 tys. PLN odpowiednio w pierwszym, drugim i trzecim roku od wprowadzenia zmian.

Główne argumenty decyzji:

- Uproszczenie kryteriów kwalifikacji i wyłączenia;
- Ułatwienie monitorowania leczenia;
- Akceptowalny wpływ na budżet płatnika publicznego.

Uwagi Rady

- Ze względu na zapisy w ChPL w PL powinny zostać umieszczone badania umożliwiające wykrycie hiperkalcemii i zaburzenia metabolizmu aminokwasów przy kwalifikacji;
- Ze względu na zalecenia wytycznych należy rozważyć uwzględnienie oznaczania stężenia albuminy w moczu lub wskaźnika albumina/kreatynina (ACR) oraz wykonywania badań obrazowych (USG układu moczowego);
- Eksperci wskazują, że do monitorowania leczenia można dodać badanie ogólne moczu i poziom albumin co 6 miesięcy;
- W wytycznych wskazuje się na konieczność monitorowania albuminurii [wskaźnik albumina/kreatynina (ACR)], kontroli hemoglobiny (Hgb) u pacjentów z niedokrwistością oraz wykonywania USG nerek. W wytycznych

zaleca się również u pacjentów z rozpoznaną niedokrwistością (niezależnie od stopnia zaawansowania PChN) wykonanie oznaczenia: ferrytyny, żelaza, transferyny (i jej wysycenia żelazem), witaminy B12, kwasu foliowego. U dorosłych z GFR < 30 ml/min/1,73 m² (kategorie GFR G4 lub G5) zalecane jest także oznaczanie stężenia wapnia, fosforanów i parathormonu (PTH) w surowicy. Należy rozważyć uzupełnienie listy badań o te wskazane w wytycznych;

- *Wszyscy eksperci zwrócili uwagę na potrzebę zwiększenia dostępności dietetyków oraz regularnych konsultacji dietetycznych dla pacjentów z przewlekłą chorobą nerek.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.422.0.34.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.113. »Leczenie pacjentów z chorobami nerek (ICD-10 N18.)«; data ukończenia: 7 maja 2025 r.