



Rekomendacja nr 195/2025

z dnia 17 grudnia 2025 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie objęcia refundacją produktu leczniczego**

**Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego B. 55. „Leczenie
pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją produktu leczniczego Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego B. 55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, bezpłatnie dla pacjenta, w ramach istniejącej grupy limitowej **pod warunkiem** obniżenia kosztu stosowania leku do najtańszego schematu terapeutycznego aktualnie refundowanego w analizowanym wskazaniu.

Uzasadnienie

Wnioskowany program lekowy dotyczy leczenia guselkumabem dorosłych chorych z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź, utrata odpowiedzi lub nietolerancja na leczenie konwencjonalne lub leczenie lekami biologicznymi.

W ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, dostępne jest stosowanie: infliksymabu, wedolizumabu, tofacytynibu, ustekinumabu, filgotynibu, ozanimodu, upadacytynibu oraz mirikizumabu. Wyżej wskazane terapie stanowią technologie alternatywne dla leku wnioskowanego.

Nie odnaleziono dowodów naukowych bezpośrednio porównujących guselkumab ze wskazanym komparatorami. W ramach analizy klinicznej przedstawiono porównanie pośrednie, przeprowadzone przez wnioskodawcę (NMA), na podstawie którego stwierdzono

Zgodnie z wynikami analizy ekonomicznej (CUA) wnioskodawcy stosowanie guselkumabu jest skuteczniejsze i droższe od komparatorów. Oszacowany ICUR, w zależności od porównania, wyniósł [redacted]. Należy jednak podkreślić niepewność przedstawionych wniosków bazujących [redacted]

W ramach analizy wpływu na budżet oszacowano, że finansowanie produktu leczniczego Tremfya (guselkumab) we wnioskowanym wskazaniu, spowodowałoby dodatkowe wydatki dla płatnika w wysokości ok. [redacted] w pierwszym roku i ok. [redacted] w drugim roku refundacji.

Biorąc pod uwagę wnioski płynące z przeprowadzonych analiz, brak niezaspokojonej potrzeby terapeutycznej, oraz negatywne Stanowisko wydane przez Radę Przejrzystości, finansowanie ocenianej technologii we wnioskowanym wskazaniu uznaje się za zasadne jedynie pod warunkiem obniżenia kosztów do poziomu ceny zbytu netto wynikającej z art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego:

- Tremfya (guselkumabum) roztwór do wstrzykiwań, 100 mg/ml, 1 amp.-strzyk., GTIN: 05413868113006, cena zbytu netto: [redacted]

- Tremfya (guselkumabum) roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 200 mg, 1 wstrzykiwacz, GTIN: 05413868126150, cena zbytu netto: [REDACTED]
- Tremfya (guselkumabum) koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 200 mg, 1 fiol., GTIN: 05413868126143, cena zbytu netto: [REDACTED]

Proponowana odpłatność i kategoria dostępności refundacyjnej: bezpłatnie w programie lekowym (B.55), w istniejącej grupie limitowej 1212.0, Guselkumab.

Problem zdrowotny

Wrzodzące zapalenie jelita grubego (WZJG, ang. ulcerative colitis, ICD-10: K51) jest rozlanym nieswoistym zapaleniem błony śluzowej odbytnicy lub odbytnicy i okrężnicy. Przebieg choroby jest zróżnicowany, okresy remisji występują zazwyczaj na przemian z zaostrzeniami stanu zapalnego.

Według danych Map Potrzeb Zdrowotnych w 2021 roku rejestrowana zapadalność na WZJG w Polsce w całej populacji wyniosła 2 708 nowych zachorowań, tj. 7,1 na 100 tys. ludności.

Zgodnie z danymi NFZ w 2023 r. w programie lekowym B.55. Leczenie pacjentów z wrzodzącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51) leczonych było 2 823 pacjentów.

Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych, jako komparator dla wnioskowanej technologii wskazano leki finansowane w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodzącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, tj. infliksymab, wedolizumab, tofacytynib, ustekinumab, filgotynib, ozanimod, upadacytynib oraz mirikizumab.

Wybór komparatora uznano za właściwy.

Opis wnioskowanego świadczenia

Guselkumab IgG1 λ jest ludzkim przeciwciałem monoklonalnym (mAb), które selektywnie wiąże się z interleukiną 23 (IL-23) z wysoką swoistością i powinowactwem poprzez miejsce wiązania antygeny.

Produkt leczniczy Tremfya jest wskazany m.in. w leczeniu dorosłych pacjentów z wrzodzącym zapaleniem jelita grubego o nasileniu umiarkowanym do ciężkiego, u których wystąpiła niewystarczająca odpowiedź, utrata odpowiedzi lub nietolerancja na leczenie konwencjonalne lub leczenie lekami biologicznymi.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne jest zgodne z ww. zarejestrowanym.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Nie odnaleziono badań bezpośrednio porównujących guselkumab ze wskazanymi komparatorami.

Do analizy włączono badania pierwotne z randomizacją dotyczące leczenia pacjentów dorosłych z rozpoznaniem WZJG guselkumabem w porównaniu do placebo tj. badania QUASAR (okres indukcji leczenia: faza 2b: QUASAR IS-2b; faza 3: QUASAR IS-3; okres podtrzymania leczenia, faza 3: QUASAR MS) oraz badanie VEGA.

W analizie klinicznej uwzględniono, [REDACTED]

Do analizy klinicznej włączono ponadto 8 opracowań wtórnych (o niskiej i bardzo niskiej jakości wg AMSTAR II). Nie zidentyfikowano badań z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE).

Szczegółowe opisy i wyniki włączonych do AKL badań przedstawiono w analizie weryfikacyjnej Agencji (AWA) i analizach Wnioskodawcy.

Skuteczność

Porównanie pośrednie (NMA)

[REDACTED]

Bezpieczeństwo

Porównanie pośrednie

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest brak randomizowanych badań bezpośrednio porównujących ocenianą technologię z aktualnie stosowanym leczeniem. Wnioskowanie bazuje na pośrednim porównaniu [REDACTED]. Ponadto nie zidentyfikowano badań obserwacyjnych prowadzonych w ramach rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE). Jednocześnie brak jest danych dla guselkumabu w okresie obserwacji dłuższym niż 44 tygodnie.

Pozostałe ograniczenia zostały przedstawione w analizie weryfikacyjnej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Zaproponowano instrument dzielenia ryzyka (RSS) [REDACTED]

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

W ramach oceny opłacalności przeprowadzono analizę użyteczności kosztów (CUA). Poniżej przedstawiono wyniki z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) z uwzględnieniem RSS.

Oszacowany ICUR, przy uwzględnieniu populacji bez wcześniejszego niepowodzenia zaawansowanej terapii, wynosi [REDACTED]

Oszacowany ICUR, przy uwzględnieniu populacji po niepowodzeniu zaawansowanej terapii, wynosi [REDACTED]

Przy wartości ICUR oszacowanej w analizie podstawowej, progowa cena zbytu netto leku, wynosi:

- w populacji bez wcześniejszego niepowodzenia zaawansowanej terapii: [REDACTED] PLN dla Tremfya 100 mg oraz [REDACTED] PLN dla Tremfya 200 mg;
- w populacji po niepowodzeniu zaawansowanej terapii [REDACTED] PLN dla Tremfya 100 mg oraz [REDACTED] PLN dla Tremfya 200 mg.

Ograniczenia

Skuteczność modelowano na podstawie wyników analizy klinicznej, której wiarygodność jest ograniczona. Ponadto efekty ekstrapolowano na dłuższy horyzont czasowy niż dane dostępne z badań. Nie przedstawiono również wszystkich porównań z komparatorami tj. wyników porównania z infliksymabem w populacji po niepowodzeniu zaawansowanej terapii.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907, z późn. zm.);

W ocenie Agencji zachodzą okoliczności art. 13 ust. 3 ustawy o refundacji. Oszacowana cena zbytu netto ocenianej technologii wynosi:

[REDACTED]

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona w dwuletnim horyzoncie czasowym z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Oszacowano liczbę pacjentów stosujących wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym na [REDACTED] pacjentów w I roku oraz [REDACTED] pacjentów w II roku.

Wyniki analizy wskazują, że objęcie refundacją leku Tremfya (guselkumab) spowoduje wzrost wydatków płatnika publicznego o:

- bez uwzględnienia RSS:
 - ok. 13 690 244 PLN w I roku refundacji;
 - ok. 43 918 127 PLN w II roku refundacji.
- z uwzględnieniem RSS:

[REDACTED]

Składowa kosztu, stanowiąca kwotę refundacji produktu leczniczego Tremfya (guselkumab), w wariancie z RSS wynosi [REDACTED] w I roku i [REDACTED] w II roku analizy.

Ograniczenia

Główne ograniczenia analizy dotyczą niepewności założeń co do wielkości populacji docelowej oraz udziałów w rynku analizowanych technologii.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[REDACTED]

Uwagi do programu lekowego

Sugeruje się rozważenie uwag zawartych w Stanowisku Rady Przejrzystości.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

W wytycznych postępowania dotyczących leczenia WZJG o stopniu nasilenia umiarkowanym do ciężkiego zalecane są następujące terapie: infliksymab, adalimumab, golimumab; tofacytynib, upadacytynib, filgotynib; guselkumab, ryzankizumab, mirikizumab; ustekinumab; wedolizumab; ozanimod i etrasymod.

Zalecenia dotyczące leczenia guselkumabem przedstawiono w najnowszych wytycznych (ACG 2025 i AGA 2024).

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono cztery rekomendacje refundacyjne wydane w 2025 roku przez CDA-AMC, NICE, HAS i ZIN. Wszystkie dokumenty pozytywnie odnosiły się do finansowania guselkumabu w leczeniu postaci umiarkowanej do ciężkiej wrzodziejącego zapalenia jelita grubego u dorosłych.

Rekomendacje CDA-AMC i NICE zawierały warunki pozytywnego rozstrzygnięcia odnoszące się do obniżenia kosztów terapii.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę produkt leczniczy Tremfya (guselkumab) jest finansowany w 1 kraju UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 19 września 2025 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLR.4500.1508.2025.16.DWI, PLR.4500.1509.2025.16.DWI, PLR.4500.1510.2025.16.DWI), w sprawie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie objęcia refundacją Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego B. 55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)”, na podstawie art. 35 ust. 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 179/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumabum) w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczyk

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Wniosek o objęcie refundacją leku Tremfya (guselkumab) w ramach programu lekowego B. 55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10 K51)” Analiza weryfikacyjna OTAD.423.2.3.2025.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 179/2025 z dnia 15 grudnia 2025 roku w sprawie oceny leku Tremfya (guselkumabum) w ramach programu lekowego B.55. „Leczenie pacjentów z wrzodziejącym zapaleniem jelita grubego (WZJG) (ICD-10: K51)”.