



Opinia Rady Przejrzystości
nr 200/2025 z dnia 12 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności wprowadzenia zmian zgodnie z projektem
programu lekowego B.27. „Leczenie przewlekłych zakażeń płuc
u świadczeniobiorców z mukowiscydozą (ICD-10: E84)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian zgodnie z projektem programu lekowego B.27. „Leczenie przewlekłych zakażeń płuc u świadczeniobiorców z mukowiscydozą (ICD-10: E84)”.

Uzasadnienie

Mukowiscydoza (zwłóknienie wielotorbielowate, ang. cystic fibrosis, CF) jest wieloukładową chorobą charakteryzującą się klinicznie przewlekłymi zmianami obturacyjnymi oskrzeli i infekcjami dróg oddechowych oraz zaburzeniami procesów trawienia i ich konsekwencjami. W populacji kaukaskiej należy do najczęstszych schorzeń uwarunkowanych genetycznie, dziedziczonych jako cecha monogenowa, autosomalna recesywna.

Za jej wystąpienie odpowiedzialne są mutacje genu kodującego regulator przewodnictwa (ang. cystic fibrosis transmembrane conductance regulator, CFTR), który zlokalizowany jest na długim ramieniu chromosomu 7. Obecnie znanych jest ponad 2100 wariantów (mutacji) w genie CFTR, których wpływ na produkcję, stabilność i aktywność kanału CFTR jest zróżnicowany. Zgodnie z sześcioklasowym systemem klasyfikacji, mutacje należące do klas I–III odpowiadają za całkowitą utratę funkcji kanału CFTR, natomiast u zaliczanych do klas IV–VI pewien stopień aktywności białka jest zachowany. Poza wariantami patogennymi, w genie CFTR występują także warianty nie mające znaczenia klinicznego.

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r., o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146 z późn. zm.), pismem znak: PLR2.4504.31.2025.2.SGÓ (data wpływu do Agencji: 11.09.2025), Minister Zdrowia przekazał Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) i Radzie Przejrzystości zlecenie dotyczące przygotowania opinii oceniającej zasadność wprowadzenia zmian w programie lekowym: B.27. „Leczenie przewlekłych zakażeń płuc u świadczeniobiorców z mukowiscydozą (ICD-10: E84)”.

Poniżej przedstawiono zakres zmian w załączonym wraz ze zleceniem Ministerstwa Zdrowia proponowanym projekcie programu lekowego:

1. Wprowadzono zmiany redakcyjne w kryteriach kwalifikacji do programu. Na wstępie wprowadzono zapis „W ramach programu lekowego udostępnia się leczenie następującymi substancjami: tobramycyną, lewofloksacyną, zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.”
2. W projekcie programu lekowego, w ramach kryteriów kwalifikacji do leczenia tobramycyną, usunięto zapis lit. c, który dotyczył konieczności wykazania oporności lub nietolerancji kolistyny (np. spadku FEV1/FVC po rozpoczęciu leczenia kolistyną wziewnie lub dodatniego wyniku testu degranulacji bazofilów).
3. W rozdziale dotyczącym czasu leczenia w programie dodano możliwość kontynuowania leczenia do momentu podjęcia przez lekarza decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu zgodnie z kryteriami zakończenia udziału w programie przedstawionymi w punkcie 3.
4. Wprowadzono zmiany edytorskie w zakresie kwalifikacji do programu lekowego, badaniach przy kwalifikacji, monitorowania leczenia i monitorowania programu.
5. Usunięto następujące kryteria wyłączenia z programu: „upośledzenie słuchu (z dużą ostrożnością należy rozważyć stosowanie leku u świadczeniobiorcy przyjmującego inne leki ototoksyczne) – dotyczy tobramycyny; uszkodzenie nerek (stężenie kreatyniny w surowicy nie mniejsze niż 2mg/dl lub mocznika nie mniejsze niż 40mg/dl); choroby ścięgien związane z podawaniem fluorochinolonów w wywiadzie – dotyczy lewofloksacyny; choroby tkanki łącznej – dotyczy lewofloksacyny; padaczka lub zaburzenia wymagające podawania leków przeciwdrgawkowych – dotyczy lewofloksacyny; zakażenie wirusem HIV lub przewlekłe aktywne zapalenie wątroby wtórne do zapalenia wątroby typu B i/lub C – dotyczy lewofloksacyny; czynniki predysponujące do wystąpienia tętniaka i rozwarstwienia aorty (dodatni wywiad rodzinny w kierunku tętniaka, wcześniejsze występowania tętniaka lub rozwarstwienia aorty, zespół Marfana, Zespół Ehlersa-Danlosa typu naczyniowego, zapalenia tętnic Takayasu, olbrzymiokomórkowe zapalenie tętnic, choroba Behçeta, nadciśnienie tętnicze, miażdżyca) – dotyczy lewofloksacyny”, zmodyfikowano kryterium dot. nadwrażliwości na lek, oraz dodano następujące kryteria: „wystąpienie chorób lub stanów, które według oceny lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia, wystąpienie nieakceptowalnej lub zagrażającej życiu toksyczności, pomimo zastosowania adekwatnego postępowania, brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia, ze strony świadczeniobiorcy lub jego opiekuna prawnego, brak skuteczności w przypadku leczenia lewofloksacyną rozumiany jako spadek

wskaźników FEV1 i/lub FVC o 10% względem poprzedniego badania lub powyżej 2 zaostrzenia oskrzelowo-płucne wymagające dożylnej antybiotykoterapii od poprzedniej wizyty oraz w przypadku leczenia tobramycyną rozumiany jako spadek wskaźników FEV1 i/lub FVC o 15% względem poprzedniego badania lub powyżej 4 zaostrzenia oskrzelowo-płucne wymagające dożylnej antybiotykoterapii od poprzedniej wizyty” zmiany nie wpływają na proces leczenia w ramach PL.

6. W kryterium wyłączenia „w przypadku terapii lewofloksacyną” odwieszono kryterium dot. okresu ciąży lub karmienia piersią, oraz dodano zapis „zakażenie wirusem HIV lub przewlekłe aktywne zapalenie wątroby wtórne do zapalenia wątroby typu B i/lub C”.

7. W schemacie dawkowania leków w programie usunięto zapis dot. dawkowania lewofloksacyny: „Dawkowanie lewofloksacyny odbywa się zgodnie z zasadami określonymi w obowiązującej Charakterystyce Produktu Leczniczego.” Ponadto dodano zapis dot. modyfikacji dawkowania: „Szczegóły dotyczące sposobu podawania, ewentualnego czasowego wstrzymania leczenia oraz ewentualnego zmniejszania dawki leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego odpowiedniego leku.”

8. Z badań przy kwalifikacji do programu usunięto test degranulacji bazofilów (opcjonalny) oraz badanie spiropetryczne przed i po podaniu kolistyny (2 mln j.m) w celu potwierdzenia nietolerancji leku oraz audiometrię. Dodatkowo rozszerzono kryterium badania klatki piersiowej o TK oraz MRI.

Podsumowując, z analizy wpływu na budżet wynika, że wprowadzenie wspomnianych zmian w programie może zwiększyć populację pacjentów kwalifikowanych do leczenia, co jest konsekwencją zniesienia ograniczenia dotyczącego kolistyny. Szacuje się, iż w pierwszym roku obowiązywania zmiany w programie lekowym, koszt dla NFZ wyniesie około 75 095 zł, a w drugim roku natomiast 79 858 zł.

Główne argumenty decyzji:

- Zmiany ujednolicają kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu lekowego;
- Proponowane zmiany pozwalają na elastyczność w ocenie stanu klinicznego pacjentów oraz doboru leczenia;
- Pozytywne rekomendacje ekspertów klinicznych;
- Wprowadzone zmiany mają charakter redakcyjny, porządkujący oraz standaryzujący.

Uwaga Rady Przejrzystości:

Rada zgodnie ze wskazaniem eksperta uznaje za zasadne usunięcie zapisu o skuteczności leczenia opartego jedynie na spadku parametrów FEV₁/FVC,

ponieważ w mukowiscydozie spadek funkcji płuc nie zawsze świadczy o nieskuteczności terapii.

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: DPL.422.2.10.2025 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.27. »Leczenie przewlekłych zakażeń płuc u świadczeniobiorców z mukowiscydozą (ICD-10: E84)«”; data ukończenia: 6 listopada 2025 r.