



Rekomendacja nr 3/2026

z dnia 8 stycznia 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy

Prezes Agencji nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy.

Uzasadnienie

Ocena dotyczy zbadania zasadności wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego produktu leczniczego Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy. Produkt Trulance nie posiada dopuszczenia do obrotu w Europie.

Do tej pory produkt leczniczy Trulance nie był sprowadzany w ramach importu docelowego. W analizowanym wskazaniu, nie sprowadzano także innych produktów leczniczych ani środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz).

Odnalezione wytyczne kliniczne u pacjentów z dyssynergią dna miednicy zalecają terapię biofeedback (trening defekacyjny), natomiast farmakoterapia pełni jedynie rolę wspomagającą. Plekanatyd jest rekomendowany jako terapia trzeciego rzutu w innych wskazaniach niż wnioskowane – w leczeniu przewlekłych zaparć bez zaburzeń defekacji oraz w leczeniu przewlekłych zaparć idiopatycznych u dorosłych pacjentów, u których nie uzyskano poprawy po zastosowaniu leków dostępnych bez recepty.

W ramach przeglądu piśmiennictwa nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo produktu leczniczego Trulance we wnioskowanym wskazaniu. Należy zauważyć, że badania obejmujące pacjentów z przewlekłymi zaparciami idiopatycznymi wykluczały pacjentów z dyssynergią dna miednicy.

Oszacowano, że finansowanie w ramach importu docelowego będzie skutkowało obciążeniem finansowym dla płatnika publicznego w wysokości około 934,92 PLN miesięcznie na leczenie jednego pacjenta. Całkowite wydatki płatnika publicznego są niemożliwe do oszacowania ze względu na brak danych pozwalających na wiarygodne oszacowanie liczebności populacji docelowej.

Uwzględniając wnioski płynące z przeprowadzonych analiz oraz negatywne Stanowisko wydane przez Radę Przejrzystości, finansowanie produktu leczniczego Trulance we wnioskowanym wskazaniu uznaje się za niezasadne.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Trulance (plecanatide) na podstawie art. 39 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.). Produkt leczniczy Trulance nie posiada dopuszczenia do obrotu w Europie. Został dopuszczony do obrotu na terenie Stanów Zjednoczonych w 2017 roku oraz na terenie Kanady w 2019 roku we wskazaniach: zespół jelita drażliwego z zaparciami (IBS-C, ang. *Irritable Bowel Syndrome with Constipation*) oraz przewlekłe zaparcia idiopatyczne (CIC, ang. *Chronic Idiopathic Constipation*).

Problem zdrowotny

Dyssynergia dna miednicy (ang. pelvic floor dyssynergy, PFD) to czynnościowe zaburzenie defekacji spowodowane nieprawidłową relaksacją lub paradoksalnym skurczem mięśni: tonowo-odbytniczego i zewnętrznego zwieracza odbytu, które w efekcie uniemożliwia całkowite wydalenie stolca. Dyssynergia dna miednicy stanowi jedną z trzech głównych przyczyn zaparć (obok wydłużonego i prawidłowego czasu pasażu jelitowego) (WGO 2017).

Dane literaturowe wskazują, że defekacja dyssynergiczna może występować u ok. 25–50% pacjentów z zaparciami (Bjørsum-Meyer 2020). W Polsce na przewlekłe zaparcia cierpi ok. 13% społeczeństwa.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z międzynarodowymi wytycznymi klinicznymi opcje terapeutyczne w leczeniu zaparć u pacjentów z dyssynergią dna miednicy w pierwszej kolejności obejmują trening defekacyjny (terapię biofeedback) oraz edukację defekacyjną i modyfikację stylu życia. W przypadku nieskuteczności postępowania nefarmakologicznego zaleca się farmakoterapię wspomagającą, obejmującą błonnik rozpuszczalny, środki osmotyczne (np. laktuloza) i stymulujące (np. sennozydy) oraz czopki glicerynowe i wlewki doodbytnicze. U pacjentów z zaparciami opornymi wskazane są terapie kolejnej linii, w tym interwencje zabiegowe (np. podanie domięśniowe toksyny botulinowej). Literatura przedmiotu wskazuje również na możliwość zastosowania psychoterapii jako elementu wsparcia leczenia.

W opinii ekspertów dostępne formy terapii farmakologicznej są ograniczone i często niewystarczająco skuteczne. Jako najskuteczniejszą terapię zaparć związanych z dyssynergią dna miednicy eksperci wskazali trening defekacyjny (biofeedback).

Zgodnie z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. (Dz.U. 2013 poz. 1522 z późn. zm.) w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej, terapia biofeedback jest aktualnie finansowana tylko w ramach świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji kardiologicznej w warunkach stacjonarnych oraz rehabilitacji neurologicznej w warunkach stacjonarnych (ICD-9: 93.3810 Metody neurofizjologiczne – ćwiczenia wspomagane zastępczym sprzężeniem zwrotnym [biofeedback]).

Podanie toksyny botulinowej realizowane jest w ramach programów lekowych we wskazaniach nie związanych z zaparciami. Pozostałe środki stosowane w farmakoterapii wspomagającej, w tym błonnik, środki osmotyczne i stymulujące oraz czopki i wlewki doodbytnicze, są dostępne dla pacjentów bez recepty i nie podlegają refundacji w analizowanym wskazaniu.

Opis wnioskowanego świadczenia

Produkt leczniczy Trulance zawiera plekanatyd w postaci tabletek 3 mg. Zarejestrowany jest w Kanadzie i USA w leczeniu zespołu jelita drażliwego z zaparciami (IBS-C) oraz leczeniu przewlekłych zaparć idiopatycznych (CIC). Nie należy go stosować u pacjentów w wieku poniżej 6 lat.

Plekanatyd działa jako agonista cykazy guanylanowej-C (GC-C). Zarówno plekanatyd, jak i jego aktywny metabolit wiążą się z GC-C i działają lokalnie na powierzchni luminalnej nabłonka jelitowego. Aktywacja GC-C prowadzi do zwiększenia zarówno wewnątrz jak i zewnątrzkomórkowego stężenia cyklicznego guanozynomonofosforanu (cGMP). Wzrost wewnątrzkomórkowego cGMP stymuluje wydzielanie chlorków i wodorowęglanów do światła jelita, głównie poprzez aktywację kanału jonowego CFTR (ang. *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*), co skutkuje zwiększeniem ilości płynu jelitowego i przyspieszeniem pasażu jelitowego.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

W ramach przeglądu piśmiennictwa nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo produktu leczniczego Trulance we wnioskowanym wskazaniu.

Odnaleziono badania oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania produktu leczniczego Trulance w leczeniu zespołu jelita drażliwego z zaparciami (IBS-C) oraz leczeniu przewlekłych zaparć idiopatycznych (CIC). Należy jednak zauważyć, że w badaniach dla CIC stosowano kryteria wykluczające, obejmujące populację stanowiącą przedmiot niniejszej oceny, tj. pacjentów z dyssynergią dna miednicy. W związku z tym nie jest możliwa ekstrapolacja wyników odnalezionych

badania na analizowaną grupę pacjentów, a przedstawione w nich dane nie mogą być uznane za adekwatne dla rozpatrywanego wskazania.

Najczęstszym działaniem niepożądanym występującym w badaniach dotyczących CIC oraz IBS-C związanym ze stosowaniem leku Trulance była biegunka (5% osób w przypadku CIC i 4,3% osób w przypadku IBS-C). Większość zgłoszonych przypadków biegunki wystąpiła w ciągu 4 tygodni od rozpoczęcia leczenia, a ciężka biegunka została zgłoszona u 0,6% pacjentów z CIC oraz 1% pacjentów z IBS-C. Biegunka była również najczęstszym działaniem niepożądanym prowadzącym do przerwania leczenia.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest brak dowodów naukowych dotyczących stosowania produktu leczniczego Trulance u pacjentów z dyssynergią dna miednicy.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy

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. 2025 r., poz. 907 z późn. zm.)

Nie dotyczy

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

Zgodnie z danymi Ministerstwa Zdrowia dotychczas nie wydano pozytywnych decyzji dotyczących sprowadzenia z zagranicy produktu leczniczego Trulance (plecanatide). Nie otrzymano również wniosków o finansowanie ocenianej technologii medycznej. W analizowanym wskazaniu w ramach importu docelowego nie sprowadzano także innych produktów leczniczych ani środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz).

Szacunkowa cena netto sprzedaży do apteki, zawierająca marżę hurtową, produktu leczniczego Trulance (plecanatide), tabletki 3 mg, 30 tabletek, wynosi ok. 836,61 PLN. Miesięczny koszt leczenia jednego pacjenta to ok. 934,92 PLN, przy przyjęciu dawkowania zgodnego z dawkowaniem dla wskazań zarejestrowanych (CIC oraz IBS-C). Nie odnaleziono schematów dawkowania dla pacjentów z zaparciami wynikającymi z dyssynergii dna miednicy oraz informacji o czasie trwania leczenia, co uniemożliwia wiarygodne oszacowanie kosztów rocznej terapii plekanatydem w tej grupie pacjentów.

Z uwagi na:

- brak danych epidemiologicznych dotyczących chorych z zaparciami spowodowanymi dyssynergią dna miednicy w Polsce,
- brak danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ, dotyczących pacjentów z dyssynergią dna miednicy wynikających z braku precyzyjnej klasyfikacji tej jednostki chorobowej w ramach ICD-10,
- opinię eksperta, zgodnie z którą rzadkie wykonywanie specjalistycznej diagnostyki w praktyce klinicznej oraz częste samoleczenie przewlekłych zaparć przez pacjentów bez konsultacji z lekarzem, nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie liczebności populacji, u której zastosowany będzie oceniany produkt leczniczy, a tym samym oszacowanie całkowitych wydatków płatnika publicznego.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest brak danych pozwalających na oszacowanie liczebności populacji docelowej.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych: międzynarodowe wytyczne *World Gastroenterology Organisation* (WGO) 2025, europejskie zalecenia *European Society of Neurogastroenterology and Motility* (ESNM) 2019 oraz amerykańskie wytyczne *American Society of Colon and Rectal Surgeons* (ASCRS) 2024, *American Gastroenterological Association* (AGA) 2023, *American College of Gastroenterology* (ACG) 2021. Nie odnaleziono polskich rekomendacji dotyczących leczenia zaparć związanych z dyssynergią dna miednicy.

Większość analizowanych wytycznych (WGO 2025, ESNM 2019, ACG 2021, ASCRS 2024) jednoznacznie wskazuje, że pierwszym wyborem leczenia u pacjentów z dyssynergią dna miednicy jest terapia biofeedback, natomiast farmakoterapia pełni jedynie rolę wspomagającą.

Biofeedback ma na celu przywrócenie prawidłowego procesu defekacji poprzez trening adekwatnego i skoordynowanego parcia na stolec. Polega na umieszczeniu sondy w odbycie i wizualizacji napięcia mięśni, tak by pomóc pacjentowi w nauce skoordynowanego skurczu mięśni jamy brzusznej, odbytnicy, łonowo-odbytniczych oraz zwieraczy, co inicjuje proces defekacji. Terapia przynosi długotrwały korzystny efekt jedynie u pacjentów z zaparciami spowodowanymi zaburzeniami defekacji. Ograniczeniami metody jest jej mała dostępność, brak wykwalifikowanego personelu oraz potencjalny brak współpracy ze strony pacjenta.

Plekanatyd jest rekomendowany jako terapia trzeciego rzutu w leczeniu przewlekłych zaparć bez zaburzeń defekacji (WGO 2025) oraz w leczeniu CIC u dorosłych pacjentów, u których nie uzyskano poprawy po zastosowaniu leków dostępnych bez recepty (AGA 2023).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 28.10.2025 (znak pisma: PLD.45340.2138.2025.1.AB), dotyczącego przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy, na podstawie art. 39 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), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 194/2025 z dnia 22 grudnia 2025 roku w sprawie oceny zasadności wydawania zgód na refundację leku Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy.

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczyk

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Opracowanie nr DOWM.4211.1.2025 Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy. Data ukończenia: 16 grudnia 2025 r.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 194/2025 z dnia 22 grudnia 2025 roku w sprawie oceny zasadności wydawania zgód na refundację leku Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy.