



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 194/2025 z dnia 22 grudnia 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Trulance
(plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią
dna miednicy**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Trulance (plecanatide), tabletki 3 mg, we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności refundacji produktu leczniczego Trulance we wskazaniu „zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy” w ramach importu docelowego. Produkt Trulance został dopuszczony do obrotu w Stanach Zjednoczonych (2017 r.) oraz w Kanadzie (2019 r.) w dwóch wskazaniach: zespół jelita drażliwego z zaparciami (IBS-C, ang. Irritable Bowel Syndrome with Constipation) oraz przewlekłe zaparcia idiopatyczne (CIC, ang. Chronic Idiopathic Constipation). Wnioskowany produkt nie posiada dopuszczenia do obrotu w Europie.

Substancją czynną produktu leczniczego Trulance jest plekanatyd, który zaliczany jest do leków prosekrecyjnych - działając jako agonista cykazy guanylanowej-C wywołuje zwiększenie ilości płynu jelitowego i przyspieszenie jego pasażu.

Dyssynergia mięśni dna miednicy (ang. pelvic floor dyssynergy, PFD) to czynnościowe zaburzenie defekacji spowodowane nieprawidłową relaksacją lub paradoksalnym skurczem mięśni: łonowo odbytniczego i zewnętrznego zwieracza odbytu, które w efekcie uniemożliwia całkowite wydalenie stolca. Etiologia PFD nie jest w pełni poznana. Wskazuje się, że defekacja dyssynergiczna wynika z niezdolności do skoordynowania mięśni brzucha, odbytnicy oraz mięśni dna miednicy, niezbędnej do efektywnego wypróżnienia (WGO 2017). W przypadku defekacji dyssynergicznej metody leczenia zaparć obejmują trening defekacyjny (biofeedback), czopki glicerynowe, wlewki doodbytnicze oraz psychoterapię. Leczenie farmakologiczne nie przynosi zadowalających efektów terapeutycznych (Mulak 2018).

Eksperci ankietowani przez Agencję wskazali, że oszacowanie populacji kwalifikującej się do leczenia ocenianą technologią jest obarczone znaczną niepewnością, wynikającą z braku danych epidemiologicznych, rzadkiego rozpoznawania dyssynergii mięśni dna miednicy w praktyce klinicznej oraz częstego samoleczenia zaparć przez pacjentów.

Zarówno produkt leczniczy Trulance, jak i substancja czynna plekanatyd nie były wcześniej przedmiotem oceny Agencji.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo produktu leczniczego Trulance w leczeniu zaparć u pacjentów z dyssynergią mięśni dna miednicy. Odnaleziono natomiast badania skuteczności i bezpieczeństwa plekanatydu w zarejestrowanych wskazaniach, tj. IBS-C, CIC. Należy zauważyć, że w badaniach dla CIC stosowano kryteria wykluczające, obejmujące populację stanowiącą przedmiot niniejszej oceny, tj. pacjentów z PFD. W związku z tym możliwość ekstrapolacji wyników tych badań na analizowaną grupę pacjentów jest ograniczona, a przedstawione w nich dane nie mogą być uznane za adekwatne dla rozpatrywanego wskazania.

Nie odnaleziono schematów dawkowania dla pacjentów z zaparciami wynikającymi z dyssynergii mięśni dna miednicy.

Nie odnaleziono polskich rekomendacji dotyczących leczenia zaparć związanych z PFD. W wytycznych zagranicznych wskazuje się, że pierwszym wyborem w leczeniu pacjentów z PFD jest terapia biofeedback, natomiast farmakoterapia pełni jedynie rolę wspomagającą (WGO 2025, ESNM 2019, ACG 2021, ASCRS 2024). Żadne z analizowanych wytycznych praktyki klinicznej nie wskazują plekanatydu jako opcji terapeutycznej w leczeniu zaparć związanych z PFD.

Problem ekonomiczny

Wg informacji MZ, 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 również innych produktów leczniczych ani środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż).

Biorąc pod uwagę przede wszystkim brak danych epidemiologicznych oraz brak danych sprawozdawczo- rozliczeniowych NFZ (brak precyzyjnej klasyfikacji PFD w ramach ICD-10) nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie populacji, u której zastosowany będzie oceniany produkt leczniczy.

Uwzględniając dawkowanie produktu Trulance we wskazaniach IBS-C i CIC oszacowano, że miesięczny koszt płatnika publicznego w przypadku wydawania zgody na jego refundację wyniesie 934,92 PLN na jednego pacjenta.

Główne argumenty decyzji

- *Brak jakichkolwiek dowodów naukowych potwierdzających skuteczność i bezpieczeństwo ocenianej technologii we wnioskowanym wskazaniu;*
- *Brak rekomendacji towarzystw naukowych;*
- *Brak możliwości oszacowania populacji docelowej;*
- *Nieemożliwy do oszacowania wpływ na wydatki płatnika publicznego.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: DOWM.4211.1.2025 „Trulance (plecanatide) we wskazaniu: zaparcie u pacjentów z dyssynergią dna miednicy”, Data ukończenia: 16.12.2025 r.