



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 18/2026 z dnia 3 lutego 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
leku Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie
podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Iwilfin (eflornithine), tabletki we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji.

Neuroblastoma jest złośliwym nowotworem, który objawia się guzem lub masami guzowatymi w obrębie jamy brzusznej albo wokół rdzenia kręgowego, klatki piersiowej, szyi lub miednicy. Jest to jeden z najczęstszych nowotworów wieku dziecięcego i stanowi ok. 5-7% wszystkich nowotworów dziecięcych. Dotyczy przede wszystkim małych dzieci, średni wiek, w którym stawiane jest rozpoznanie wynosi 2 lata. Rocznie stwierdza się 6-11 zachorowań na 1 mln dzieci w wieku 0-15 lat, 50% guzów występuje przed 2 r.ż., a 90% przed 5 r.ż. W Polsce rozpoznaje się rocznie około 60-70 nowych zachorowań.

W leczeniu neuroblastoma stosuje się standardową wielolekową chemioterapię, zabieg chirurgiczny, chemioterapię mieloablacyjną oraz autologiczne przeszczepienie macierzystych komórek krwiotwórczych, radioterapię, a także leczenie tzw. choroby resztkowej. Do grupy nerwiaków zarodkowych współczulnych o wysokim stopniu ryzyka kwalifikuje się dzieci > 1 r.ż. gdy występuje: rozsiana choroba (4. stopień INSS), stopień 2. lub 3. INSS z amplifikacją protoonkogenu N-Myc.

Zalecany protokół leczenia dzieci z nerwiakiem wysokiego ryzyka składa się z kilku etapów: krótko trwającej intensywnej chemioterapii indukcyjnej, pobrania macierzystych komórek krwiotwórczych z krwi obwodowej, próby całkowitej resekcji guza pierwotnego, terapii mieloablacyjnej z następowym przetoczeniem

komórek krwiotwórczych SCT, a potem napromienianiu miejsca, w którym był zlokalizowany guz pierwotny, a następnie przeprowadzenia tzw. choroby resztkowej izotretynoing (może być w połączeniu z immunoterapią).

Na rokowanie w przebiegu neuroblastomy wpływa wiele czynników. Dzięki wdrożeniu odpowiedniego leczenia, wskaźnik 5-letniego przeżycia u dzieci poniżej 1 roku życia wynosi ok. 90%, a u dzieci powyżej 1 roku życia ok. 65%.

Oceniane wskazanie obejmuje leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji. Jedynym lekiem dla tego wskazania, wymienianym w wytycznych NCCN 2025, jest eflornityna. Jako alternatywne postępowanie zalecana jest obserwacja pacjenta.

Produkt leczniczy Iwilfin nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej. Lek nie posiada rejestracji EMA (brak danych potwierdzających skuteczność - ograniczenia badania klinicznego NMTRC003/NCT02395666, wątpliwości co do jakości i wytwarzania leku).

Dowody naukowe

Dane dotyczące skuteczności zastosowania leku Iwilfin w leczeniu podtrzymującym nawrotowej neuroblastoma w remisji są skąpe. Badanie pierwotne NMTRC003, w którym przeprowadzono ocenę skuteczności terapii DFMO jako terapii podtrzymującej neuroblastoma wysokiego ryzyka, względem historycznej grupy kontrolnej wykazało IS różnice na korzyść DFMO stosowane jako terapia podtrzymująca, względem braku terapii (historyczna grupa kontrolna) dla EFS i OS. Stosowanie leku Iwilfin (Eflornithine) wiąże się z ryzykiem wystąpienia powikłań, takich jak utrata słuchu, zapalenie ucha środkowego, gorączka, zapalenie płuc oraz biegunka.

Wytyczne kliniczne NCCN 2025 uwzględniają ocenianą technologię medyczną. Panel NCCN ds. nerwiaka niedojrzałego sugeruje, aby lekarze omawiali z pacjentami i ich rodzinami eflornitynę jako opcję terapii kontynuacyjnej (zalecenie kategorii 2B). SIOPEN popiera stosowanie eflornityny zgodnie z rejestracją FDA oraz w ramach programu szybkiego dostępu (EAP) wszędzie tam, gdzie program jest dostępny, a równocześnie zobowiązuje się do systematycznego gromadzenia danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa w ramach badania HR-NBL2.

W swoich opiniach eksperci kliniczni nie przedstawili jednoznacznego stanowiska ws. stosowania ocenianej technologii medycznej. Zwrócili uwagę, iż aktualnie nie są dostępne inne leki możliwe do zastosowania w ocenianym wskazaniu. Jednocześnie podkreślają brak wysokiej jakości dowodów potwierdzających skuteczność eflornityny w tej populacji pacjentów oraz bardzo wysokie koszty terapii.

Problem ekonomiczny

Prognozowane wydatki na finansowanie lwilfin w ramach importu docelowego wynoszą rocznie dla 1 pacjenta od 0,5 mln PLN do 1 mln PLN (w zależności od przyjętego dawkowania).

Główne argumenty decyzji:

- *Brak wysokiej jakości danych naukowych potwierdzających skuteczność terapii.*
- *Wątpliwy profil bezpieczeństwa.*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*

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 2025 r. poz. 1461) 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 późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.4211.2.2025 „lwilfin (eflornithine) we wskazaniu: leczenie podtrzymujące nawrotowego neuroblastoma w remisji”; data ukończenia: 29.01.2026 r.