



Rekomendacja nr 54/2026

z dnia 30 kwietnia 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Redempro (plogasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Redempro (plogasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii.

Uzasadnienie rekomendacji

Produkt leczniczy Redempro (plogasiran) został zatwierdzony przez Agencję FDA (*Food and Drug Administration*) w listopadzie 2025 r. do stosowania jako uzupełnienie diety w celu obniżenia stężenia trójglicerydów u dorosłych pacjentów z zespołem rodzinnej chylomikronemii (FCS). Należy przy tym podkreślić, że oceniany produkt leczniczy nie posiada centralnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Unii Europejskiej wydanego przez Europejską Agencję Leków (EMA).

Według odnalezionych wytycznych klinicznych kluczową rolę w postępowaniu medycznym u pacjentów z FCS odgrywa dieta niskotłuszczowa. W najnowszych rekomendacjach wskazywane są także nowe leki, w tym leki ukierunkowane na apolipoproteinę C-III, takie jak wolanesorsen, olezarsen i plogasiran. Obecnie żadna z tych substancji nie jest terapią refundowaną w Polsce. Niemniej olezarsen był już przedmiotem oceny Agencji i znalazł się w najnowszym wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności.

W analizie klinicznej, na podstawie badania z randomizacją PALISADE stwierdzono skuteczność plogasiranu w zakresie obniżania stężenia trójglicerydów na czczo (po 10 mies. względem wartości początkowych) u pacjentów z rodzinną chylomikronemią oporną na standardową terapię. Zwraca się jednak uwagę na okres obserwacji badania, w którym faza zaślepienia trwała 12 miesięcy, natomiast dane z dwuletniej, otwartej (OLE) fazy przedłużonej były dostępne dla pierwszego roku stosowania leczenia. W związku z powyższym dane na temat długoterminowej oceny skuteczności i bezpieczeństwa leczenia plogasiranem pozostają ograniczone.

Zgodnie z opinią ankietowanego eksperta oraz dostępnymi danymi Narodowego Funduszu Zdrowia, łączna liczba osób (dzieci i dorośli) z analizowanym schorzeniem mieści się w zakresie od 200 do 400 chorych. Niepewne jest jednak, ile pacjentów zastosowałoby ocenianą terapię w ramach procedury importu docelowego. Według przeprowadzonych oszacowań własnych, orientacyjny roczny koszt netto analizowanej interwencji w przeliczeniu na 1 pacjenta może wynosić ok. 216 tys. PLN.

Po uwzględnieniu zebranych w procesie oceny informacji, w tym niepewności co do długoterminowych skutków terapii, ograniczonych danych dotyczących kosztów leku przy jednoczesnym braku centralnej rejestracji EMA i potencjalnej dostępności leczenia alternatywnego w ramach TLI, a także negatywnej opinii Rady Przejrzystości, wydawanie zgód na refundację produktu leczniczego Redempro (plogasiran) uznaje się obecnie za nieuzasadnione.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Redempro (plogasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii, 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 2026 r., poz. 253).

Problem zdrowotny

Zespół rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS) to rzadka choroba dziedziczona autosomalnie recesywnie, ujawniająca się w dzieciństwie i charakteryzująca ciężką hipertriglicerydemią – stężenie triglicerydów (TG) przekracza 10 mmol/l (>885 mg/dl).

Szacuje się, że na świecie FCS występuje z częstością od 1 do 13 przypadków na milion osób.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ w ocenianym wskazaniu nie są refundowane żadne produkty lecznicze. Niemniej w 2026 roku Agencja oceniała lek Tryngolza (olezarsen) będący podobnie jak plozasiran inhibitorem APOC-III, we wskazaniu zarejestrowanym przez EMA, tj.: do stosowania jako uzupełnienie diety u pacjentów dorosłych w leczeniu genetycznie potwierdzonego zespołu rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS). Produkt Tryngolza został uwzględniony w wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI), wydanym przez AOTMiT w marcu bieżącego roku, a zatem trwa proces umożliwiający objęcie refundacją olezarsenu w ramach programu lekowego dedykowanego pacjentom z zespołem rodzinnej chylomikronemii.

Opis wnioskowanego świadczenia

Produkt leczniczy Redempro (plozasiran) jest wskazany do stosowania jako uzupełnienie diety w celu obniżenia stężenia trójglicerydów u dorosłych pacjentów z zespołem rodzinnej chylomikronemii (FCS). Plozasiran jest małym interferującym RNA (siRNA) ukierunkowanym na apolipoproteinę C-III (apoC-III).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

W analizie klinicznej uwzględniono jedno badanie z randomizacją III fazy PALISADE, w którym porównano plozasiran (PLO) z placebo (PLC) w leczeniu 75 dorosłych pacjentów z rodzinną chylomikronemią oporną na standardową terapię. Pierwszorzędnym punktem końcowym badania była ocena średniej zmiany stężenia trójglicerydów na czczo po 10 miesiącach względem wartości początkowej.

Do analizy włączono ponadto przegląd systematyczny z metaanalizą obejmujący ocenę skuteczności i bezpieczeństwa leczenia plozasiranem pacjentów z zaburzeniami dyslipidemicznymi (Sydnom 2025).

Szczegółowe podsumowanie przeprowadzonego wyszukiwania i wyniki włączonych badań przedstawiono w raporcie analitycznym.

Skuteczność i bezpieczeństwo

Zgodnie z wynikami badania PALISADE wśród pacjentów zaobserwowano zmniejszenie stężenia trójglicerydów na czczo po 10 miesiącach względem wartości wyjściowej:

- o 80% w grupie PLO 25 mg;
- o 78% w grupie PLO 50 mg;
- o 17% w grupie PLC (nie podano informacji na temat istotności statystycznej wyników).

Wyniki dotyczące kluczowych drugorzędowych punktów końcowych (średniej zmiany stężenia trójglicerydów i apolipoproteiny C-III w 10 i 12 mies. oraz częstości zapalenia trzustki) wskazywały na istotną korzyść u pacjentów, którzy otrzymywali kwartalne dawki 25 mg lub 50 mg plozasiranu w porównaniu z grupą placebo.

W przedłużonej fazie badania OLE, w ocenie jakości życia (wg EORTC-QLQ-C30, PAN-26 i EQ-5D-5L) większość domen objawów poprawiła się, niektóre z klinicznie istotnymi wynikami > -10 punktów, tj.:

- znacząca poprawa apetytu: -15,9 (p < 0,05),
- bezsenność: -16,8, (p < 0,05).

Wyniki domen funkcjonalnych również poprawiły się, niektóre z klinicznie istotnymi wynikami $> +10$ punktów, w zakresie:

- funkcji pełnienia roli społecznej, $+14,8$ ($p < 0,05$),
- funkcji emocjonalnej, $+11,8$ ($p < 0,05$),
- satysfakcji z opieki zdrowotnej, $+14,7$ (brak informacji o wartości p).

Ponadto, w grupie pacjentów stosujących plogasiran w porównaniu do placebo wykazano istotną kliniczną poprawę w zakresie ocen: utraty apetytu, bezsenności, funkcjonowania poznawczego, funkcjonowania emocjonalnego oraz funkcjonowania w rolach społecznych (nominalne wartości $p < 0,05$).

Najczęściej występującymi zdarzeniami niepożądanymi w grupach stosujących plogasiran były: ból brzucha, COVID-19, nieżyt nosogardła, ból głowy, nudności, infekcje górnych dróg oddechowych oraz biegunka. Zdarzenia niepożądane wśród pacjentów w obu grupach stosujących plogasiran były podobne do tych w grupie placebo, z wyjątkiem częstości występowania COVID-19 (choroba zdiagnozowana u 5 pacjentów w grupie PLO 25 mg i u 7 pacjentów w grupie PLO 50 mg, w porównaniu z brakiem przypadków w grupie placebo).

Wyniki przeglądu systematycznego Sydhom 2025 zawierającego metaanalizę 4 badań RCT (w tym badanie PALISADE) są spójne z kierunkiem wnioskowania z badania PALISADE. W grupie PLO obserwowano IS zmniejszenie stężenia trójglicerydów: PLO vs. PLC po 24 tyg.: MD= $-53,2$ [95%CI: $-7,17$; $-49,26$], $p < 0,00001$, PLO vs. PLC na koniec badania: MD= $-53,00$, [95%CI: $-60,51$; $-45,50$], $p < 0,00001$.

W zakresie bezpieczeństwa leczenia wśród pacjentów otrzymujących plogasiran częściej występowały zdarzenia niepożądane ogółem, bóle głowy oraz wzrost poziomu HbA1C.

Ograniczenia

Głównymi ograniczeniami badania PALISADE jest mała populacja pacjentów leczonych PLO oraz krótki okres obserwacji (faza zaślepienia 12 miesięcy, faza przedłużona badania 2 lata, ale dostępne są wyniki dla 1 roku obserwacji fazy przedłużonej). Należy też zauważyć, że Redempro jest lekiem zarejestrowanym jako uzupełnienie diety w celu zmniejszenia stężenia trójglicerydów u dorosłych pacjentów z zespołem rodzinnej chylomikronemii, natomiast do badania PALISADE włączano pacjentów z FCS oporną na standardową terapię obniżającą poziom lipidów i udokumentowaną historią poziomu trójglicerydów na czczo powyżej 1000 mg/dL przynajmniej trzykrotnie.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Szacowany koszt netto za opakowanie wg danych internetowych (ze strony internetowej drugs.com) wynosi ok. 53 966,81 PLN za opakowanie Redempro 25 mg.

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

Biorąc pod uwagę opinię eksperta i dane NFZ liczba pacjentów z analizowanym schorzeniem mieści się w zakresie od ok. 200 do ok. 400 pacjentów. Natomiast zgodnie z informacjami zawartymi w otrzymanym zleceniu dotychczas do MZ wpłynął 1 wniosek dotyczący importu analizowanej technologii medycznej.

Roczny koszt ocenianej interwencji (tylko koszty leku) w przeliczeniu na 1 pacjenta oszacowano na kwotę 215 867,24 PLN.

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność co do liczby pacjentów, którzy będą stosować oceniany produkt. Ponadto, nie jest pewny czas stosowania leku oraz jego koszt za opakowanie.

Oszacowany koszt terapii nie uwzględnia podatku VAT (8%) ani marży hurtowej (10%). Wobec tego może być on wyższy o ok 20%.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

W odnalezionych wytycznych polskich i zagranicznych (PTL 2021, ESC/EAS 2025, NLA 2025 i NLA/ASPC 2025) zalecane jest, aby leczenie zespołu rodzinnej chylomikronemii (FCS) opierało się przede wszystkim na restrykcyjnej diecie ubogotłuszczowej (tłuszcze <10-15%), abstynencji od alkoholu, ograniczeniu spożycia cukrów prostych i redukcji masy ciała w przypadku nadwagi. W części wytycznych wymieniane są: wolanesorsen, olezarsen i plozasiran jako nowe możliwości terapeutyczne w FCS.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 6 lutego 2025 (znak pisma: PLD.45340.164.2026.1.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Redemplo (plozasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii, 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. 2026 r., poz. 253), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 50/2026 z dnia 20 kwietnia 2026 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Redemplo (plozasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii.

Piśmiennictwo

1. Raport nr OTOW.414.1.2026. Redemplo (plozasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 50/2026 z dnia 20 kwietnia 2026 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Redemplo (plozasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii.