



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

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Redemplo (plozasiran), iniekcje 25 mg/0,5ml, we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół rodzinnej chylomikronemii (ang. familial chylomicronemia syndrome, FCS) to rzadka choroba dziedziczona autosomalnie recesywnie, ujawniająca się już w dzieciństwie i charakteryzująca się ciężką hipertriglicydemią – 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. W obrazie klinicznym charakterystyczne są takie objawy jak nawracające ostre zapalenia trzustki, napadowe bóle brzucha, żółtaki guzkowe lub grudkowe na powierzchni skóry oraz lipemia siatkówki.

Możliwości skutecznego leczenia FCS są ograniczone. Podstawę postępowania stanowi stosowanie skrajnie restrykcyjnej diety niskotłuszczowej oraz całkowita abstynencja od alkoholu. Pacjenci często przyjmują różne leki łagodzące ból i inne objawy choroby. Osoby stosujące dietę niskotłuszczową wymagają suplementacji niezbędnych nienasyconych kwasów tłuszczowych (linolowego i alfa-linolenowego) oraz witamin rozpuszczalnych w tłuszczach (A, D, E i K). Dodatkowo, w leczeniu mogą być stosowane preparaty obniżające cholesterol, takie jak fibraty, kwas nikotynowy czy statyny, jednak ich skuteczność w FCS jest ograniczona. W Europie dostępny jest również lek Waylivra (wolanersorsen) oraz Tryngolza (olezarsen), będące oligonukleotydami hamującymi syntezę apoproteiny CIII, wspomagającymi dietę u pacjentów z FCS.

Dowody naukowe

Plozasiran jest małym interferującym RNA (siRNA) sprzężonym z ligandem zawierającym 3 N-acetylogalaktozaminy (GalNAc), który degradowe mRNA apoC-III poprzez mechanizm interferencji RNA, co skutkuje zmniejszeniem poziomu białka apoC-III w wątrobie i surowicy. Redukcja białka apoC-III prowadzi do zwiększonego usuwania trójglicerydów z surowicy.

Wytyczne polskich i zagranicznych towarzystw naukowych zgodnie zalecają, aby leczenie zespołu rodzinnej chylomikronemii (FCS) opierało się przede wszystkim na bardzo restrykcyjnej diecie ubogotłuszczowej (tłuszcze <10-15%), całkowitej abstynencji od alkoholu oraz ograniczeniu spożycia cukrów prostych i redukcji masy ciała w przypadku nadwagi. Kluczowe znaczenie ma edukacja pacjenta i wsparcie dietetyczne, a także regularna aktywność fizyczna. Wytyczne NLA i ASPC (opublikowane po dacie rejestracji ocenianej technologii), wskazują plozasiran jako jedną z możliwych do zastosowania opcji terapeutycznych, zwłaszcza u pacjentów z FCS lub przewlekłą chylomikronemią z cechami „alarmowymi”.

W analizie dowodów naukowych pod uwagę brano dwie publikacje: wyników badania PALISADE porównującego plozasiran z placebo w leczeniu dorosłych pacjentów z FCS oporna na standardową terapię oraz jeden przegląd systematyczny (Sydham 2025) porównujący plozasiran z placebo u pacjentów z różnymi zaburzeniami dyslipidemicznymi.

W badaniu PALISADE w 10 miesiącu obserwacji stwierdzono względne zmniejszenie poziomu trójglicerydów na czczo w porównaniu do wartości wyjściowej o ok. 80% u pacjentów przyjmujących plozasiran (w porównaniu z 17% w grupie placebo) i 83% redukcję ryzyka rozwoju ostrego zapalenia trzustki w porównaniu z placebo. Pacjenci w badaniu mieli podobną odpowiedź na plozasiran niezależnie od potwierdzonych cech genetycznych FCS. Ryzyko wystąpienia działań niepożądanych było podobne we wszystkich grupach badania. W przeglądzie systematycznym Sydham 2025 zaobserwowano znaczną heterogeniczność w wielu wynikach, głównie ze względu na zmienność w populacjach badawczych, dawkowaniu i schematach podawania leku.

Problem ekonomiczny

Wnioskowana populacja jest trudna do oszacowania. Biorąc pod uwagę dostępną opinię eksperta oraz dane NFZ można przypuszczać, że wnioskowana populacja będzie wynosić ok. 200-400 pacjentów. Na podstawie przyjętych założeń oszacowany roczny koszty ocenianej interwencji dla jednego pacjenta wyniósł ok. 216 000 zł. Należy jednak podkreślić, że powyższe oszacowanie nie uwzględnia podatku VAT ani marży hurtowej, nie jest także znany czas leczenia lekiem Redempho.

Z uwagi na ograniczone dane zarówno dotyczące liczebności populacji jak i ceny leku oraz ograniczenie wskazań tylko do populacji dorosłej, niemożliwe jest wiarygodne oszacowanie rocznych wydatków płatnika publicznego obejmujących całą wnioskowaną populację.

Nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania wnioskowanego leku w innych krajach. Odnaleziono informację, że brytyjska agencja NICE oraz kanadyjska agencja CDA-CMC procedują aktualnie ocenę plogasiranu w leczeniu FCS.

Główne argumenty decyzji

- *Brak danych naukowych dotyczących długoterminowej skuteczności leczenia;*
- *Brak danych umożliwiających wiarygodne oszacowanie kosztów terapii dla płatnika, bardzo wysokie koszty rocznej terapii na pacjenta;*
- *Brak wytycznych dotyczących kryteriów włączenia do leczenia i schematu/czasu trwania leczenia w zależności od efektów.*

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 na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OTOW.414.1.2026 „Redemplo (plogasiran) we wskazaniu: zespół rodzinnej chylomikronemii”, data ukończenia: 17 kwietnia 2026 r.