



Opracowanie dotyczące oceny zasadności
wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego
**B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą
niewydolnością nerek (PNN) (ICD-10 N18)”**

opracowanie nr OTAP.4121.1.2026

Data ukończenia: 6 maja 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b 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)¹⁾ i art. 35a 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)²⁾.

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

Zakres wyłączenia jawności: dane osobowe.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych) (Dz. U. UE.L. z 2016 r.119.1).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: osoba fizyczna.

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b 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)¹⁾ i art. 35a 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)²⁾.

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: nie dotyczy.

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233 z późn. zm.), art. 35 ust. 4a - 4b 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)¹⁾ i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2025r., poz. 907)²⁾.

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (nie dotyczy).

¹⁾ podstawa prawna zakreślonych danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu 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)

²⁾ podstawa prawna zakreślonych w analizie weryfikacyjnej Agencji danych objętych tajemnicą przedsiębiorcy będącego wnioskodawcą w rozumieniu 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).

Wykaz wybranych skrótów

Agencja / AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CI	Przedział ufności
CKD	Przewlekła choroba nerek (ang. Chronic Kidney Disease)
eGFR	Współczynnik filtracji kłębuszkowej (ang. estimated glomerular filtration rate)
ESRD	Schyłkowa niewydolność nerek (ang. End-Stage Renal Disease)
HSDS	Odchylenie standardowe wzrostu (ang. height standard deviation score)
MD	Średnia różnica (ang. mean dilarence)
PChN	Przewlekła choroba nerek
PNN	Przewlekła niewydolność nerek
PL	Program lekowy
RCT	Randomizowane badanie kliniczne (ang. randomized clinical trial)
rhGH	Rekombinowany ludzki hormon wzrostu (ang. recombinant human growth hormone)
SDS	Wyniki odchylenia standardowego (ang. standard deviation score)
Technologia	Technologia medyczna w rozumieniu art. 5 pkt 42 b ustawy o świadczeniach lub środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrób medyczny w rozumieniu art. 2 pkt 21 i 28 ustawy o refundacji
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2026 poz. 253)
Ustawa o świadczeniach	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2025 poz. 1537, z późn. zm.)

Spis treści

1.	Podstawowe informacje o zleceniu.....	5
2.	Przedmiot i historia zlecenia	6
2.1.	Korespondencja w sprawie	6
2.2.	Zmiany w programie lekowym B.38	6
3.	Problem decyzyjny.....	10
3.1.	Problem zdrowotny	10
4.	Opinie ekspertów klinicznych	11
5.	Ocena zmian w PL B.38	14
6.	Wpływ na wydatki płatnika publicznego.....	23
6.1.	Metodologia	23
6.2.	Scenariusz aktualny (brak zmian w programie lekowym)	23
6.2.1.	Liczebność pacjentów w scenariuszu aktualnym	23
6.2.2.	Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu aktualnym	24
6.3.	Scenariusz nowy (nowe zapisy programie lekowym).....	25
6.3.1.	Liczebność pacjentów w scenariuszu nowym.....	25
6.3.2.	Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu nowym.....	26
6.4.	Wyniki analizy wpływu na budżet	27
7.	Źródła.....	28
8.	Załączniki.....	29
8.1.	Aktualnie obowiązujący program lekowy B.38 LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z PRZEWLEKŁĄ NIEWYDOLNOŚCIĄ NEREK (PNN) (ICD-10 N18)	29
8.2.	Projekt proponowanego programu lekowego B.38 LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z PRZEWLEKŁĄ NIEWYDOLNOŚCIĄ NEREK (PNN) (ICD-10 N18)	31

1. Podstawowe informacje o zleceniu

Data wpłynięcia zlecenia do AOTMiT (RR-MM-DD)	3 marca 2026 r.
i znak pisma zlecającego	PLR2.4504.39.2026.EL

Pełna nazwa ocenianego problemu (z pisma zlecającego):

Ocena zasadności wprowadzenia zmian w ramach programu lekowego B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (ICD-10 N18)”

Typ zlecenia: art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461 z późn. zm.) – realizacja innych zadań zleconych przez ministra właściwego do spraw zdrowia

☒ zlecenie Ministra Zdrowia złożone z urzędu

☐ zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej

☐ zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia będącego zgodnie z postanowieniami statutu towarzystwem naukowym o zasięgu krajowym – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej

☐ zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia

☐ zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia lub fundacji, których celem statutowym jest ochrona praw pacjenta – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej

Oceniana technologia medyczna: somatotropina

Do finansowania we wskazaniu (choroba lub stan kliniczny wymienione w zleceniu):

- „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN) (ICD-10 N18)”

2. Przedmiot i historia zlecenia

2.1. Korespondencja w sprawie

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r., o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461 z późn. zm.), pismem znak: PLR2.4504.39.2026.EL (data wpływu do Agencji: 03.03.2026 r.), Minister Zdrowia przekazał Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) zlecenie dotyczące przygotowania opinii oceniającej zasadność wprowadzenia zmian w programie lekowym:

- B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (ICD-10 N18)”.

W zleceniu MZ zawarto prośbę o ocenę zasadności wprowadzenia proponowanych modyfikacji, ze szczególnym uwzględnieniem potencjalnych zmian dotyczących wzrostu populacji pacjentów kwalifikujących się do programu oraz szacowanego wpływu na budżet płatnika publicznego.

W ramach niniejszego opracowania przedstawiono komentarz analityków do proponowanych zmian w programie lekowym, a także proponowaną zmianę zestawiono z odnalezionymi rekomendacjami klinicznymi i odnalezionymi badaniami. Przedstawiono również informacje dotyczące liczebności analizowanej populacji i wpływu zmian na budżet.

2.2. Zmiany w programie lekowym B.38

Poniżej przedstawiono zakres zmian w załączonym wraz ze zleceniem MZ proponowanym projekcie programu lekowego B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (ICD-10 N18)”. Opis projektu programu lekowego oraz aktualnie obowiązującego programu lekowego przedstawiono w rozdziale 8. w ramach załączników do niniejszego opracowania, natomiast szczegółowe zestawienie proponowanych zmian w tabeli nr 1.

Zmiany ogólne:

1. Zmodyfikowano kryteria kwalifikacji do programu, m.in. zmiana „klirensu kreatyniny” na „eGFR”; w odniesieniu do określenia wysokości ciała dziecka zmieniono parametr „odchylenie standardowe (SDS)” na centyle; zmieniono sposób określania wieku szkieletowego – zamiast odnoszenia się do norm Greulich’a i Pyle, należy ocenić, czy nasady kości długich uległy zarośnięciu. Ponadto, dodano kryterium włączające do leczenia w programie pacjentów z PCHN w stadium 3-5 lub dializowanych ze wzrostem < 10 centyla i tempem wzrastania < 25 centyla.
2. Wprowadzono możliwość zawieszania leczenia pacjenta w ramach programu i późniejsze włączanie go bez konieczności przechodzenia ponownej procedury kwalifikacji do programu.
3. Zmodyfikowano kryteria wyłączenia z programu, m.in. złagodzone kryterium dotyczące obecności zaburzeń przemian węglowodanowych, zmieniając je na „niewyrównaną cukrzycę”, a także dodano 2 nowe kryteria: pseudo tumor cerebri i złuszczenia nasady kości udowej.
4. Zmodyfikowano badania wykonywane podczas kwalifikacji do programu.
5. Zmodyfikowano badania wykonywane w ramach monitorowania leczenia, pozostawiając bez zmian częstotliwość monitorowania, tj. co 30 dni w stadium 3-4 choroby, co 90, po 90 dniach i co 365 dni.

Wprowadzone zmiany mają charakter porządkujący, ujednolicają zapisy i aktualizują je względem wytycznych klinicznych i aktualnej praktyki, rozszerzają zakres decyzji pozostawionych lekarzowi prowadzącemu lub Zespołowi Koordynacyjnemu.

W poniższej tabeli zestawiono aktualne brzmienie programu lekowego B.38 z proponowanymi zmianami. Czerwoną czcionką oznaczono aktualne zapisy, które miałyby ulec zmianie / usunięciu, natomiast zieloną czcionką – proponowane nowe / zmienione zapisy.

Tabela 1. Zestawienie aktualnych i proponowanych zapisów w programie lekowym B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN) (ICD-10 N18)”

Część PL	Aktualne zapisy	Proponowane zapisy
Wstęp	Do programu kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.	Do programu kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Do czasu aktualizacji aplikacji SMPT, dopuszcza się udział pacjenta w programie na podstawie akceptacji Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu, uzyskanej w inny sposób niż za pośrednictwem aplikacji SMPT.
1. Kryteria kwalifikacji	1) klirens kreatyniny niższy niż 75 ml/1,73m²/min.; 2) wysokość ciała dziecka poniżej -1,88 odchylenia standardowego (SDS), dla płci i wieku metrykalnego lub tempo wzrastania SDS poniżej - 2,0; 3) opóźniony wiek szkieletowy, poniżej 12,5 lat dla chłopców i poniżej 11,5 lat dla dziewczynek, według norm Greulich'a i Pyle; 4) wykluczenie innych przyczyn niskorosłości.	1) eGFR<75 ml/min/ 1,73m² 2) wysokość ciała dziecka poniżej <3centyla dla płci i wieku metrykalnego 3) pacjenci z PCHN stadium 3-5 lub dializowani w wieku > 6 miesięcy życia ze wzrostem <10 centyla i tempem wzrastania <25centyla 4) wykluczenie innych przyczyn niskorosłości 5) niezarośnięte nasady kości długich (na podstawie wieku szkieletowego).
2. Określenie czasu leczenia w programie	Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.	Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia. Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc (PTH > 500pg/ml) i powrót do leczenia, gdy PTH < 300pg/ml). Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący. Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu lub 75 centyla wzrostu; Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący, gdy tempo wzrastania ulegnie obniżeniu o 1 kanał centylowy.
3. Kryteria wyłączenia	1) inna aniżeli PNN przyczyna niskorosłości; 2) zaburzenia przemian węglowodanowych; 3) choroba nowotworowa, 4) niezadawalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała świadczeniobiorcy leczonego hormonem wzrostu poniżej 3cm na rok (nie dotyczy dziewcząt z wiekiem kostnym powyżej 14 lat oraz chłopców z wiekiem kostnym powyżej 16 lat); 5) osiągnięcie wieku kostnego powyżej 16 lat przez dziewczynkę i powyżej 18 lat przez chłopca.	1) inna aniżeli PCHN przyczyna niskorosłości; 2) niewyrównana cukrzyca; 3) choroba nowotworowa, 4) niezadawalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała świadczeniobiorcy leczonego hormonem wzrostu poniżej 3cm na rok (nie dotyczy dziewcząt z wiekiem kostnym powyżej 14 lat oraz chłopców z wiekiem kostnym powyżej 16 lat); 5) osiągnięcie wieku kostnego powyżej 16 lat przez dziewczynkę i powyżej 18 lat przez chłopca; 6) pseudo tumor cerebri; 7) złuszczenia nasady kości udowej.
1. Dawkowanie	Somatotropina podawana codziennie wieczorem w dawce: 0,33 mg-0,37 mg (1,0-1,1 IU)/kg masy ciała/tydzień.	Somatotropina podawana codziennie wieczorem w dawce: 0,33 mg-0,37 mg (1,0-1,1 IU)/kg masy ciała/tydzień.
1. Badania przy kwalifikacji	1) pomiar stężenia IGF-1; 2) badania densytometryczne; 3) RTG stawów biodrowych. Badania wykonywane według standardów diagnozowania świadczeniobiorców z przewlekłą niewydolnością nerek.	Badania wykonywane według standardów diagnozowania świadczeniobiorców z przewlekłą chorobą nerek (kreatynina, mocznik, Ca, P, ALP, PTH, gazometria, 25OHD3, albuminy, białko całkowite, glukoza, morfologia, lipidogram). 1) pomiar stężenia IGF-1; 2) hemoglobina glikowana Hb1Ac

		3) stężenie TSH i fT4 4) badania densytometryczne; 5) RTG stawów biodrowych; 6) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 7) badanie dna oka; 8) ocena dojrzewania wg skali Tanner'a.
2. Monitorowanie leczenia	2.1 Co 30 dni w 3 - 4 stadium choroby: 1) stężenie parathormonu (intact PTH); 2) fosfataza alkaliczna; 3) proteinogram ; 4) stężenie glukozy we krwi ; 5) stężenie kreatyniny; 6) stężenie mocznika; 7) jonogram w surowicy krwi (Na ⁺ , K ⁺ , Ca ⁺⁺ , Ca zjonizowany ⁺ , P ⁻); 8) morfologia krwi z rozmazem; 9) gazometria.	2.1 Co 30 dni w 3 - 4 stadium choroby: 1) stężenie parathormonu (intact PTH); 2) fosfataza alkaliczna; 3) białko całkowite, albuminy; 4) stężenie glukozy na czczo ; 5) stężenie kreatyniny; 6) stężenie mocznika; 7) jonogram w surowicy krwi (Na ⁺ , K ⁺ , Ca ⁺⁺ , Ca, P ⁻); 8) morfologia krwi z rozmazem; 9) gazometria.
	2.2 Co 90 dni 1) u dzieci z wadami układu moczowo-płciowego, u innych w zależności od potrzeb: a) konsultacja urologiczna, b) USG jamy brzusznej, 2) konsultacja dietetyka; 3) w 2 stadium choroby: a) stężenie parathormonu (intact PTH), b) fosfataza alkaliczna, c) proteinogram , d) stężenie glukozy we krwi , e) stężenie kreatyniny, f) stężenie mocznika, g) jonogram w surowicy krwi (Na ⁺ , K ⁺ , Ca ⁺⁺ , Ca zjonizowany ⁺ , P ⁻), h) morfologia krwi z rozmazem, i) gazometria.	2.2 Co 90 dni 10) konsultacja dietetyka; 11) stężenie parathormonu (intact PTH), 12) fosfataza alkaliczna, 13) białko całkowite, albuminy ; 14) stężenie glukozy na czczo , 15) stężenie kreatyniny, 16) stężenie mocznika, 17) jonogram w surowicy krwi (Na ⁺ , K ⁺ , Ca ⁺⁺ , Ca, P ⁻), 18) morfologia krwi z rozmazem, 19) gazometria.
	2.3 Po 90 dniach 1) stężenie IGF-1.	2.3 Po 90 dniach 20) stężenie IGF-1
	2.9 Co 365 dni 1) stężenie triglicerydów ; 2) stężenie całkowitego cholesterolu ; 3) stężenie IGF-1; 4) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego);	2.9 Co 365 dni 1) Lipidogram , stężenie IGF-1; 2) stężenie parathormonu (intact PTH) 3) fosfataza alkaliczna 4) białko całkowite, albuminy ; 5) stężenie glukozy na czczo ;

	5) w uzasadnionych przypadkach: a) badania densytometryczne, b) RTG stawów biodrowych, c) konsultacja okulistyczna, d) konsultacja ortopedyczna, e) cystouretografia, 6) przy podejrzeniu złuszczenia głowy kości udowej, u innych w zależności od potrzeb: a) konsultacja ortopedyczna, b) RTG/USG stawów biodrowych, c) TK z kontrastem stawów biodrowych, 7) u dzieci z wadami układu moczowo-płciowego, u innych w zależności od potrzeb: a) badanie ogólne moczu, b) posiew moczu. Badania wykonywane według standardów monitorowania terapii hormonem wzrostu świadczeniobiorców PNN.	6) stężenie kreatyniny; 7) stężenie mocznika; 8) jonogram w surowicy krwi (Na⁺, K⁺, Ca⁺⁺, Ca, P) 9) morfologia krwi z rozmazem, 10) gazometria. 11) pomiar stężenia TSH, fT3 12) Hemoglobina glikowana Hb1Ac 13) stężenie witaminy 25OH wit. D lub/i wit. 1,25(OH)2D3 w uzasadnionych przypadkach 14) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 15) badania densytometryczne, 16) RTG stawów biodrowych, 17) konsultacja ortopedyczna, Przy podejrzeniu złuszczenia nasady głowy kości udowej, u innych w zależności od potrzeb. Badania wykonywane według standardów monitorowania terapii hormonem wzrostu świadczeniobiorców PCHN.
3. Monitorowanie programu	1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.	1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

3. Problem decyzyjny

3.1. Problem zdrowotny

ICD-10: N18 – Przewlekła niewydolność nerek

Przewlekła choroba nerek (PChN) to wielobjawowy zespół chorobowy, spowodowany zmniejszeniem liczby czynnych nefronów. Do rozwoju PChN mogą prowadzić różnorodne procesy chorobowe, zarówno wrodzone i nabyte. Wraz ze zmniejszaniem się liczby czynnych nefronów zmniejsza się przesączanie kłębuszkowe (GFR).

Źródło: Ziółkowska 2010

Tabela 2. Klasyfikacja PChN u dzieci w wieku > 2 lat [źródło: mp.pl]

Stadium PChN	GFR (ml/min/1,73 m ²)	Objawy
1	≥ 90	uszkodzenie nerek z prawidłowym lub zwiększonym GFR (często na tym etapie występuje hiperfiltracja, a objawy związane są z podstawową chorobą nerek)
2	60-89	uszkodzenie nerek z niewielkim zmniejszeniem GFR
3a	45-59	zaburzenia metaboliczne charakterystyczne dla mocznicy
3b	30-44	nasilenie zaburzeń metabolicznych w stosunku do stadium 3.
4	15-29	
5	< 15	wskazania do rozpoczęcia leczenia nerkozastępczego

W leczeniu PChN u dzieci jednym z najbardziej wymagających problemów jest osiągnięcie normalnego wzrostu. W ciągu ostatnich dwóch dekad dokonano znacznego postępu w rozumieniu patofizjologii i leczenia zahamowania wzrostu u dzieci z przewlekłą chorobą nerek, jednakże około 40% dzieci ze schyłkowym stadium choroby nerek ma zmniejszoną ostateczną wysokość ciała (poniżej 3. percentyla) w porównaniu z wysokością ciała zdrowych dzieci w tym samym wieku i płci. Niskorosłość wpływa na pogorszenie jakości życia, poczucia własnej wartości oraz wiąże się ze zwiększoną śmiertelnością.

Etiologia opóźnienia wzrostu w PChN jest wieloczynnikowa i obejmuje zahamowanie wzrostu wewnątrzmacicznego, niedożywienie, zaburzenia mineralno-kostne, kwasicę metaboliczną, utratę elektrolitów oraz zaburzenia osi somatotropowej i gonadotropowej. Zaawansowana przewlekła choroba nerek jest stanem obniżonej wrażliwości na hormon wzrostu (GH), charakteryzującym się niedoborem funkcjonalnego insulinopodobnego czynnika wzrostu-1 (IGF-1). Oporność na GH można przezwyciężyć poprzez podawanie przekraczających wartości fizjologiczne dawek rekombinowanego ludzkiego GH, który stymuluje syntezę IGF1, normalizuje aktywność somatomedyny, wspomaga wzrost podłużny i prawdopodobnie poprawia wzrost w wieku dorosłym.

Źródło: ESPN 2019

W Polsce, w latach 1994–2020, 335 dzieci z niskorosłością związaną z przewlekłą chorobą nerek było leczonych rhGH w ramach Programu Narodowego: 145 dzieci na dializach przewlekłych, 166 pacjentów na leczeniu zachowawczym oraz 24 biorców przeszczepu nerki.

Źródło: Leszczyńska 2022

4. Opinie ekspertów klinicznych

W tabelach poniżej przedstawiono opinie ekspertów klinicznych, ankietowanych przez Agencję. Opinie zostały przygotowane bezpłatnie.

Tabela 3. Opinie ekspertów klinicznych – epidemiologia

Populacja	prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska Katedra i Klinika Pediatrii i Nefrologii, Wydział Lekarski, Warszawski Uniwersytet Medyczny	prof. Mieczysław Walczak Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu Kierownik Kliniki Pediatrii, Endokrynologii, Diabetologii, Chorób Metabolicznych i Kardiologii Wieku Rozwojowego, Szczecin
Pacjenci pediatryczni z niskorosłością występującą w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek	- Obecna liczba chorych w Polsce: 80 - Liczba nowych zachorowań / rok: 18 % spełniających aktualne kryteria włączenia do PL B.38: 60 Źródło: szacunki własne	- Obecna liczba chorych w Polsce: 80 - Liczba nowych zachorowań / rok: 18 % spełniających aktualne kryteria włączenia do PL B.38: 60 (75%) Źródło: szacunki własne
Pacjenci aktualnie leczeni w programie lekowym B.38	- Liczebność pacjentów leczonych w PL: 52 - Średnia liczba nowych pacjentów w PL: 15 - Średnia liczba pacjentów powtórnie włączanych do PL: 1-2 Źródło: szacunki własne	- Liczebność pacjentów leczonych w PL: 52 - Średnia liczba nowych pacjentów w PL: 12 - Średnia liczba pacjentów powtórnie włączanych do PL: 1-2 Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej
Potencjalni pacjenci leczeni w programie lekowym B.38 po wprowadzeniu zaproponowanych zmian	- Liczebność pacjentów leczonych w PL: 60 - Średnia liczba nowych pacjentów w PL: 18 - Średnia liczba pacjentów powtórnie włączanych do PL: 2-3 Źródło: szacunki własne	- Liczebność pacjentów leczonych w PL: 60, czyli ok. 8 więcej - Średnia liczba nowych pacjentów w PL: 18 - Średnia liczba pacjentów powtórnie włączanych do PL: 2-4 Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej
Stopień zaawansowania PChN u pacjentów aktualnie leczonych w programie lekowym B.38	1: 0% 2: 15% 3: 50% 4: 18% 5: 17% Źródło: dane własne	1: 0% 2: 15% 3: 50% 4: 18% 5: 17% Źródło: na podstawie pacjentów obecnie leczonych

Tabela 4. Opinie ekspertów klinicznych – informacje o wyłączeniach z programu lekowego B.38

Populacja	prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska Katedra i Klinika Pediatrii i Nefrologii, Wydział Lekarski, Warszawski Uniwersytet Medyczny	prof. Mieczysław Walczak Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu Kierownik Kliniki Pediatrii, Endokrynologii, Diabetologii, Chorób Metabolicznych i Kardiologii Wieku Rozwojowego, Szczecin
Pacjenci aktualnie leczeni w programie lekowym B.38	- Trwałe wyłączenie: 31% - Czasowe wyłączenie: 10% - Ponowne włączenie wymagające ponownej kwalifikacji do PL: 5% Źródło: Dane własne	- Trwałe wyłączenie: 19 / 60 31,7% - Czasowe wyłączenie: 10% - Ponowne włączenie wymagające ponownej kwalifikacji do PL: 5% Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej
Potencjalni pacjenci leczeni w programie lekowym B.38 po wprowadzeniu zaproponowanych zmian	- Trwałe wyłączenie: 32% - Czasowe wyłączenie: 10% - Ponowne włączenie wymagające ponownej kwalifikacji do PL: 0 Źródło: Szacunki własne	- Trwałe wyłączenie: 32% - Czasowe wyłączenie: 10% - Ponowne włączenie wymagające ponownej kwalifikacji do PL: 0 Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej

Tabela 5. Opinie ekspertów klinicznych – informacje o czasie leczenia w programie lekowym B.38

Populacja	prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska Katedra i Klinika Pediatrii i Nefrologii, Wydział Lekarski, Warszawski Uniwersytet Medyczny	prof. Mieczysław Walczak Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu Kierownik Kliniki Pediatrii, Endokrynologii, Diabetologii, Chorób Metabolicznych i Kardiologii Wieku Rozwojowego, Szczecin
Pacjenci aktualnie leczeni w programie lekowym B.38	- Średni czas leczenia w PL: 2,5 roku - Średni czas trwania przerwy w leczeniu w ramach PL: 3-6 miesięcy Źródło: Dane własne	- Średni czas leczenia w PL: 2,5 roku - Średni czas trwania przerwy w leczeniu w ramach PL: 3-6 mc Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej
Potencjalni pacjenci leczeni w programie lekowym B.38 po wprowadzeniu zaproponowanych zmian	- Średni czas leczenia w PL: 2,5 roku - Średni czas trwania przerwy w leczeniu w ramach PL: 6-12 miesięcy Źródło: Szacunki własne	- Średni czas leczenia w PL: Podobnie 2,5 roku - Średni czas trwania przerwy w leczeniu w ramach PL: 6-12 mc Źródło: Dane uzyskane od prof. M. Pańczyk-Tomaszewskiej

Tabela 6. Opinie ekspertów klinicznych – pozostałe pytania

Treść pytania	prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska Katedra i Klinika Pediatrii i Nefrologii, Wydział Lekarski, Warszawski Uniwersytet Medyczny	prof. Mieczysław Walczak Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu Kierownik Kliniki Pediatrii, Endokrynologii, Diabetologii, Chorób Metabolicznych i Kardiologii Wieku Rozwojowego, Szczecin
Kluczowe potrzeby kliniczne / systemowe, które zostaną zrealizowane poprzez uwzględnienie zaproponowanych zmian w PL B.38	„Możliwość leczenia pacjentów z PCHN na wcześniejszych etapach choroby, co umożliwi osiągnięcie lepszego wyniku leczenia.”	„Możliwość leczenia pacjentów w wieku nastoletnim z przewlekłą chorobą nerek (PChN) i niskorosłych z obniżonym wiekiem szkieletowym przed osiągnięciem skrajnej niskorosłości. Poprawi to znacznie samoocenę i funkcjonowanie społeczne wśród rówieśników.”
Czy istnieją subpopulacje pacjentów dotychczas nieleczonych, którzy zyskaliby możliwość leczenia w ramach PL B.38	„Tak”	„Tak, zwłaszcza u pacjentów po transplantacji nerki”
Czy kryterium włączenia: „klirens kreatyniny < 75 ml/1,73m ² /min” (pierwotne) oraz kryterium „eGFR< 75 ml/min/1,73m ² ” (nowe) – są klinicznie równoważne?	„Tak”	„Tak (obecnie nie używa się klirensu kreatyniny ze względu na trudności w oznaczeniu) a jedynie szacunkowy wskaźnik przesączania kłębuszkowego (eGFR)”
Najczęstsze przyczyny wykluczeń z obecnego PL	„Wykluczenie trwałe: niezadawalający efekt leczenia, transplantacja nerki, osiągnięcie wzrostu ostatecznego, rezygnacja pacjenta lub rodziców z leczenia. Wykluczenie czasowe: wzrost stężenia PTH w sur. krwi powyżej 500 pg/ml (objaw wtórnej nadczynności przytarczyc), ciężkie infekcje lub zabiegi operacyjne, osiągnięcie prognozowanego wzrostu oceniane na siatkach centylowych”	„- wykluczenie stałe to: transplantacja nerki, osiągnięcie wzrostu ostatecznego, niezadawalający efekt leczenia, rezygnacja pacjenta. - nasilenie objawów wtórnej nadczynności przytarczyc (wzrost stężenia PTH), osiągnięcie prognozowanego centyla wzrostu, powikłanie wynikające z choroby podstawowej (niegenerowanie leczeniem rhGH)”
Czy istnieją subpopulacje, które w związku z zaproponowanymi zmianami w PL zostaną wykluczone z aktualnej możliwości leczenia w ramach tego programu?	„Nie”	„Nie”
Czy w obecnym programie lekowym stosowana jest praktyka czasowego wyłączenia z programu, a następnie ponownego włączenia?	„Tak”	„Tak”

Czy zaproponowane rozszerzenie zapisów dotyczących zawieszenia w podawaniu leków (w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc i/lub osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu) dotyczą aktualnie stosowanych w praktyce klinicznie sytuacji?	„Tak”	„Tak”
Możliwość nadużyć / niewłaściwego zastosowania związane ze stosowaniem somatotropiny w ramach PL B.38	„Nie widzimy takich możliwości”	„Nie widzimy”

Zgodnie z opinią prof. Małgorzaty Pańczyk-Tomaszewskiej, nowe kryteria kwalifikacji do PL B.38 wpłyną na zwiększenie liczebności pacjentów leczonych w programie o 10% względem obecnej liczebności. Jako uzasadnienie wskazano: „Wzrost liczby pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli wzrastania; wzrost liczby pacjentów leczonych o grupę między 3 a 10 centylem”. Natomiast nowe kryteria wyłączenia nie spowodują zmian w liczebności pacjentów leczonych w programie lub spowodują minimalny wzrost populacji (o 1,7%): „Niewielki wzrost liczby pacjentów lub liczebność bez zmian, ponieważ wcześniejsze rozpoczęcie leczenia pozwoli wcześniej osiągnąć wzrost ostateczny”.

Prof. Mieczysław Walczak wskazał, iż zarówno nowe kryteria kwalifikacji, jak i wyłączenia spowodują zwiększenie liczebności pacjentów w programie: odpowiednio o 10% (n=6) w odniesieniu do kryteriów kwalifikacji („Wzrost ilości pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli tempa wzrastania”) i 0,2% (n=1) w odniesieniu do kryteriów wyłączenia („Szybsze osiągnięcie wzrostu prognozowanego”).

5. Ocena zmian w PL B.38

W załączonym do zlecenia MZ projekcie programu lekowego B.38 „Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN) (ICD-10 N18)” zaproponowano zmiany dotyczące kryteriów kwalifikacji, czasu leczenia w programie, kryteriów wyłączenia, a także badań przy kwalifikacji i monitorowaniu leczenia (szczegóły przedstawiono w tabeli nr 1.).

ChPL

Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 7 marca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (aktualnym na dzień zakończenia prac nad niniejszym opracowaniem), w ramach programu lekowego B.38 refundowane są następujące leki zawierające jako substancję czynną somatotropinę: Genotropin 12; Genotropin 5,3; Omnitrope (10 mg) oraz Omnitrope (5 mg). Na stronie rejestrymedyczne.ezdrowie.gov.pl odnaleziono Charakterystykę Produktu Leczniczego Genotropin (ChPL Genotropin), natomiast na stronie EMA Charakterystykę Produktu Leczniczego Omnitrope (ChPL Omnitrope).

Opinie ekspertów

W trakcie prac wystąpiono o opinie do 5 ekspertów klinicznych. Otrzymano 2 opinie, które zostały przedstawione w rozdz. 4. niniejszego opracowania.

Dowody naukowe

W dniu 16.04.2026 r. przeprowadzono wyszukiwanie w bazach medycznych Medline (via PubMed) oraz Cochrane Library z zastosowaniem haseł odnoszących się zarówno do ocenianej interwencji, jak i populacji chorych, które połączono operatorami logicznymi Boole'a. W trakcie wyszukiwania doniesień naukowych nie stosowano automatycznych filtrów.

Poniżej przedstawiono kryteria włączenia badań:

Populacja: niskorosłe dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN);

Interwencja: somatotropina;

Komparator: bez ograniczeń;

Punkty końcowe: dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa;

Typ badań: wykluczano opisy przypadków oraz abstrakty konferencyjne;

Inne: publikacje w języku angielskim i polskim, pełne teksty publikacji.

Do analizy włączono:

- Hodson 2012 – przegląd systematyczny z metaanalizą mający na celu ocenę korzyści i szkód związanych z leczeniem rhGH u dzieci w wieku od 0 do 18 lat, u których zdiagnozowano PChN i które są leczone zachowawczo (PChN w stadiach 3 i 4), dializami (PChN w stadium 5) lub przeszczepem nerki (PChN w stadium 5);
- Youssef 2012 – badanie RCT z grupą kontrolną w układzie naprzemiennym, którego celem było określenie wpływu stosowania rhGH na wzrost pacjentów ze schyłkową niewydolnością nerek (ESRD) poddawanych regularnej hemodializie oraz porównanie go z tempem wzrostu w tej samej grupie w roku poprzedzającym rozpoczęcie terapii.

W toku prac weryfikacyjnych nad przeglądem systematycznym odnaleziono następujące abstrakty: Crompton 2004, Fine 2000, Rees 2000, Szczepańska 2008. Odstąpiono od włączenia ich do analizy klinicznej ze względu na brak dostępu do pełnego tekstu publikacji, a tym samym możliwości pełnej weryfikacji ich metodologii.

Hodson 2012

Celem przeglądu systematycznego z metaanalizą była ocena korzyści i szkód związanych ze stosowaniem rhGH u dzieci z PChN.

Metody wyszukiwania

Badania RCT zostały zidentyfikowane w Rejestrze Specjalistycznym Cochrane Renal Group, Rejestrze Badań Kontrolowanych Cochrane (Central), Medline (od 1966), Embase (od 1980), na listach piśmiennictwa artykułów oraz poprzez kontakt z lokalnymi i międzynarodowymi ekspertami w tej dziedzinie. Jako datę ostatniego wyszukiwania wskazano 29 grudnia 2011 r.

Kryteria kwalifikacji

Badania RCT uwzględniono, jeśli przeprowadzono je u dzieci w wieku od 0 do 18 lat, z rozpoznaniem PChN, które były przed dializą, w trakcie dializy lub po przeszczepieniu; jeśli porównywano w nich leczenie rhGH z placebo/ brakiem leczenia lub dwiema dawkami leczenia rhGH oraz jeśli uwzględniono w nich wzrost.

Pierwszorzędowym punktem końcowym było odchylenie standardowe wzrostu u dzieci (HSDS, ang. height standard deviation score) po zakończeniu leczenia lub zmiana HSDS od początku do końca leczenia oraz tempo wzrostu po zakończeniu leczenia lub zmiana tempa wzrostu. Drugorzędowe wyniki obejmowały: końcowe HSDS lub zmianę HSDS i tempo wzrostu w okresie dojrzewania, końcowe SDS lub zmianę tempa wzrostu, wzrost końcowy, zmianę wieku kostnego, jakość życia oraz działania niepożądane leczenia rhGH (czynność nerek, epizody odrzucenia, łagodne ciśnienie śródczaszkowe i wszelkie inne zgłoszone działania niepożądane).

Analiza danych

Dwóch autorów niezależnie oceniło badania pod kątem ryzyka błędu systematycznego i wyodrębniło dane z badań kwalifikujących się do udziału w przeglądzie. Dane połączono, stosując model efektów losowych z obliczeniem średniej różnicy (MD) dla wyników ciągłych z 95% przedziałami ufności (CI).

Główne wyniki

Do przeglądu włączono 16 badań (z udziałem 809 dzieci). Ocena ryzyka błędu systematycznego wykazała, że jakość badań była niska lub niedokładnie opisana, a jedynie odpowiednio cztery i pięć badań zgłosiło odpowiednie ukrycie alokacji lub zaślepienie uczestników badania i badaczy. Leczenie rhGH (28 IU/miesiąc/tydzień) w porównaniu z placebo lub brakiem specyficznej terapii spowodowało istotny wzrost odchylenia standardowego wzrostu (HSDS) po 1 roku [8 badań, 391 dzieci: MD=0,82 (95% CI: 0,56-1,07)] oraz istotny wzrost tempa wzrostu po sześciu miesiącach [2 badania, 27 dzieci: MD=2,85 cm/6 mies., (95% CI: 2,22-3,48)] i po 1 roku [7 badań, 287 dzieci: MD=3,88 cm/rok, (95% CI: 3,32-4,44)]. Tempo wzrostu, choć zmniejszone, pozostało istotnie większe niż u dzieci nieleczonych w drugim roku terapii [1 badanie, 82 dzieci: MD=2,30 cm/rok, (95% CI: 1,39-3,21)]. W porównaniu z dawką 14 IU/miesiąc/tydzień, w grupie 28 IU/miesiąc/tydzień tempo wzrostu wzrosło o 1,18 cm/rok [3 badania, 150 dzieci: 1,18 cm/rok, (95% CI: 0,52-1,84)]. Częstość zgłaszanych działań niepożądanych rhGH była generalnie podobna do częstości w grupie kontrolnej.

Wnioski autorów

Na podstawie istniejących danych z badań RCT, roczna dawka 28 IU/miesiąc/tydzień rhGH u dzieci z PChN, niezależnie od ich okresu dojrzewania i statusu leczenia (przed dializą, w trakcie dializ, po przeszczepie), skutkuje średnim wzrostem o 3,88 cm/rok. Dane z badań kohortowych sugerują, że rhGH powoduje rozwój ostatecznego wzrostu dorosłego, a odpowiedź u dzieci przed okresem dojrzewania i/lub w stadium 3 lub 4 PChN przewyższa odpowiedź u dzieci w okresie dojrzewania i/lub w stadium 5 PChN. Działania niepożądane rhGH występują rzadko.

Youssef 2012

Celem badania było sprawdzenie wpływu stosowania rhGH na wzrost pacjentów ze schyłkową niewydolnością nerek (ESRD) poddawanych regularnej hemodializie i porównanie go z szybkością wzrostu w tej samej grupie w ciągu roku poprzedzającego zastosowanie terapii.

Pacjenci i metody

Publikacja dotyczy badania klinicznego z randomizacją, z grupą kontrolną, w układzie krzyżowym. Badanie przeprowadzono na Oddziale Pediatricznym i Oddziale Nefrologii Szpitala Uniwersyteckiego w Zagazig w latach od czerwca 2006 do czerwca 2008 roku. W badaniu wzięło udział 15 pacjentów z ESRD, regularnie dializowanych. W badaniu uczestniczyło 8 kobiet i 7 mężczyzn w wieku od 5 do 14 lat (średni wiek $10,6 \pm 2,8$ roku). Dane demograficzne tych pacjentów, zaliczonych do grupy A, zostały zebrane

przed rozpoczęciem terapii rhGH oraz na początku leczenia rhGH, zaliczonym do grupy B, w której pacjenci w tym okresie stanowili grupę kontrolną (niepoddawaną terapii). Dane pacjentów po 6 miesiącach od rozpoczęcia leczenia określono jako grupę C, a po roku leczenia jako grupę D. Każdemu pacjentowi podawano rekombinowany GH (somatropinę) trzy razy w tygodniu w dawce 0,33 mg/kg/tydzień (0,8 IU/kg/tydzień) przez rok po uzyskaniu świadomej pisemnej zgody od rodziców każdego pacjenta.

Kryteria włączenia obejmowały pacjentów z ESRD poniżej wieku zamknięcia nasad kości. Kryteria wykluczenia obejmowały pacjentów z poziomem iPTH pięciokrotnie przekraczającym górną granicę normy, tj. 300 pg/dl, pacjentów z aktywną krzywicą lub złuszczoną nasadką głowy kości udowej, stężeniem fosforu ponad 1,5-krotnie przekraczającym górną granicę wieku oraz pacjentów z nieprawidłowym badaniem dna oka.

Analiza statystyczna

Analizę statystyczną przeprowadzono za pomocą programu komputerowego (SPSS w wersji 11). Dane ilościowe przedstawiono jako średnią $\pm$ odchylenie standardowe. Jako test istotności statystycznej dla dwóch grup zastosowano test t dla prób niezależnych. Dla sparowanych danych ilościowych dla więcej niż dwóch grup zastosowano test ANOVA. Za istotną statystycznie uznawano wartość p mniejszą niż 0,05.

Główne wyniki

Wyniki pokazały, że w roku poprzedzającym terapię wzrost pacjentów wzrósł ze średniej $112,1 \pm 11,6$ cm do $112,7 \pm 11,5$ cm, co stanowi nieistotny statystycznie ($p > 0,05$) ani klinicznie (średnia prędkość wzrostu 0,6 cm/rok), podczas gdy wzrost pacjentów wzrósł ze średniej $112,7 \pm 11,5$ cm na początku terapii do $116,8 \pm 11$ cm po terapii trwającej rok, co, choć nie było statystycznie istotne ($p > 0,05$), miało znaczenie kliniczne. Zgodnie z powyższym tempo wzrostu, tj. średnia prędkość wzrostu 4,1 cm/rok, jest zbliżone do normalnej prędkości wzrostu, która wynosi 5 cm/rok przed okresem dojrzewania.

Wnioski autorów

Terapia rhGH u pacjentów z ESRD poddawanych regularnym hemodializom jest pomocna w przyroście wzrostu i nadrobieniu zaległości, nawet jeśli jest podawana trzy razy w tygodniu zamiast pięciu lub sześciu razy. Zaleca się rutynowe stosowanie terapii rhGH u pacjentów pediatrycznych przed zamknięciem nasad kości długich.

Wytyczne kliniczne

Przeszukano następujące źródła w celu odnalezienia wytycznych praktyki klinicznej:

- Polskie Towarzystwo Nefrologii Dziecięcej (PTNefD), <https://ptnfd.org/>;
- European Society for Paediatric Nephrology (ESPN), <https://www.espn-online.org/>;
- International Pediatric Nephrology Association (IPNA), <https://theipna.org/>;
- Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO), <https://kdigo.org/>;
- American Society of Pediatric Nephrology (ASPEN), <https://aspneph.org/>.

Wyszukiwanie przeprowadzono w dniu 16.04.2026 r. Włączano dokumenty w języku polskim lub angielskim, opublikowane po dacie rozpoczęcia funkcjonowania aktualnie obowiązującego programu lekowego B.38, tj. po 07.2014 r.

Odnaleziono 1 wytyczne: europejskie z 2019 r. (ESPN 2019), dotyczące praktyki klinicznej w zakresie stosowania hormonu wzrostu u dzieci z przewlekłą chorobą nerek.

Ponadto, odnaleziono wytyczne KDIGO 2024³, w których powołano się na wytyczne ESPN 2019. W zakresie niedoborów wzrostu w populacji pediatrycznej z niewydolnością nerek, wytyczne KDIGO 2024 wskazują jedynie, iż u dzieci, poza wskazaniami do dializy takimi, jak u dorosłych, niedobór wzrostu oporny na optymalne odżywianie, hormon wzrostu i leczenie farmakologiczne stanowi wskazanie do rozpoczęcia terapii nerkozastępczej (ang. kidney replacement therapy, KRT). W związku z powyższym, w niniejszym opracowaniu odstąpiono od opisu wytycznych KDIGO 2024.

Proponowane zmiany zapisu programu lekowego w zestawieniu z ChPL, rekomendacjami klinicznym i odnalezionymi badaniami zaprezentowano w tabeli poniżej.

³ [KDIGO-2024-CKD-Guideline.pdf](#) (data dostępu: 5.05.2026 r.)

Tabela 7. Zestawienie proponowanych zmian w programie lekowym B.38

Część PL	Opis zmian w projekcie programu	ChPL / wytyczne / badania
Wstęp	Dodano zapis: „Do czasu aktualizacji aplikacji SMPT, dopuszcza się udział pacjenta w programie na podstawie akceptacji Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu, uzyskanej w inny sposób niż za pośrednictwem aplikacji SMPT.”	Komentarz analityków Agencji: zmiana formalno-porządkowa, umożliwiająca bieżącą realizację programu, bez wpływu na liczebność populacji czy koszt realizacji PL.
Kryteria kwalifikacji	Zmieniono zapis kryterium: „klirens kreatyniny niższy niż 75 ml/1,73m ² /min.” na: „eGFR<75 ml/min/ 1,73m ² ”.	Komentarz analityków Agencji: wskaźnik eGFR jest standardowym (i zalecanym w wytycznych) wskaźnikiem oceny funkcji nerek i jednym z kluczowych kryteriów rozpoznawania oraz stopniowania PChN. Uwzględnione w programie kryterium <i>eGFR <75 ml/min/ 1,73m²</i> obejmuje pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN) od 2 stadium zaawansowania choroby. Powołując się na opinie ekspertów wskazujące na kliniczną równoważność poprzedniego i nowego zapisu – zmianę programu w tym zakresie należy uznać za dostosowanie treści programu do stosowanej aktualnie praktyki klinicznej, bez wpływu na liczebność populacji czy koszt realizacji PL. Opinie ekspertów: Zgodnie z uzyskanymi opiniami ekspertów, oba zapisy są klinicznie równoważne. Ekspert podkreślił, że: „obecnie nie używa się klirensu kreatyniny ze względu na trudności w oznaczeniu a jedynie szacunkowy wskaźnik przesączania kłębuszkowego (eGFR)”. ChPL Nie odniesiono się ocenianego kryterium. Wytyczne: W wytycznych nie wskazano jednoznacznie wartości eGFR, od której należy rozważyć terapię GH, niemniej aktualne wytyczne rekomendują stosowanie tej terapii u pacjentów w 3-5 stadium niewydolności nerek co odpowiada wartościom eGFR < 59 ml/min/ 1,73m²”. Badania: <u>Hodson 2012</u> W przeglądzie nie zastosowano progu typu eGFR <75 ml/min/1,73 m² ani klirensu kreatyniny <75 ml/min/1,73 m². Do przeglądu włączano badania dotyczące populacji dzieci z przewlekłą chorobą nerek o różnym stopniu zaawansowania, najczęściej z istotnie obniżoną funkcją nerek. Wyniki odnoszą się do populacji dzieci ze zdiagnozowanym PChN, które są leczone zachowawczo (PChN w stadiach 3 i 4), dializami (PChN w stadiach 5) lub przeszczepem nerki (PChN w stadiach 5). <u>Youssef 2012</u> Badanie dotyczyło dzieci z krańcową niewydolnością nerek (ESRD) leczonych hemodializą, a więc z bardzo niską funkcją nerek (zwykle eGFR <15 ml/min/1,73 m²). Analizowana w badaniu populacja obejmowała pacjentów w znacznie bardziej zaawansowanym stadium choroby.

	Zmieniono zapis kryterium: <i>„wysokość ciała dziecka poniżej -1,88 odchylenia standardowego (SDS), dla płci i wieku metrykalnego”</i> na: <i>„wysokość ciała dziecka poniżej < 3 centyla dla płci i wieku metrykalnego”.</i>	Komentarz analityków Agencji: National Health Statistic wskazuje, że percentyle są „najczęściej używanym klinicznym wskaźnikiem” oceny wzrastania⁴. Aktualny zapis w programie odnoszący się do parametru wysokości ciała „-1,88 odchylenia standardowego (SDS)” bezpośrednio odpowiada propozycji parametru wysokości ciała dziecka „poniżej 3 centyla” dla płci i wieku metrykalnego⁵. Zmiana formalno-porządkowa, bez wpływu na liczebność populacji czy koszt realizacji PL. ChPL Nie odniesiono się do ocenianego kryterium. Wytyczne: Wskaźnik centylowy jest stosowany w aktualnych wytycznych: zaleca się, aby dzieci z przewlekłą chorobą nerek (PChN) w stadium 3–5 lub dializowane, w wieku powyżej 6 miesięcy, były kandydatami do terapii hormonem wzrostu (GH), jeśli mają utrzymujące się opóźnienie wzrastania, definiowane jako wzrost < 3. percentyla dla wieku i płci oraz szybkie tempo wzrostu < 25 percentyla, po tym jak odpowiednio uwzględniono inne potencjalnie możliwe do leczenia czynniki ryzyka opóźnienia wzrostu, pod warunkiem, że dziecko ma potencjał wzrostu. [zalecenie umiarkowane] Badania: <u>Hodson 2012</u> Do przeglądu włączano badania dotyczące dzieci z istotnym niedoborem wzrostu, jednak zakresy wartości różniły się między poszczególnymi RCT (często używano SDS lub percentyli, lecz bez jednego wspólnego punktu odcięcia). W praktyce odpowiada to jednak populacji dzieci z wyraźnie obniżonym wzrostem, zwykle zbliżonym do wartości poniżej 3. centyla. <u>Youssef 2012</u> Autorzy badania definiują badaną populację jako dzieci mające istotny niedobór wzrostu. Skupiają się głównie na zmianie tempa wzrastania po leczeniu hormonem wzrostu, a nie na ścisłych kryteriach centylowych przy włączeniu do badania.
	Usunięto zapis kryterium: <i>„lub tempo wzrastania SDS poniżej - 2.0”.</i>	Komentarz analityków Agencji: potencjalny wpływ na liczebność pacjentów kwalifikujących się do leczenia w PL – ograniczenie możliwości włączenia do PL części dzieci. ChPL Nie odniesiono się do ocenianego kryterium. Wytyczne: Nie wskazano wartości SDS, przy której rekomendowane jest rozpoczęcie terapii GH. Badania: <u>Hodson 2012</u> Do przeglądu włączano badania dotyczące dzieci z zaburzonym (spowolnionym) tempem wzrastania, jednak podobnie jak w kwestii wzrostu i GFR wartości progowe różniły się między poszczególnymi badaniami i nie zostały ujednolicone do określonego punktu odcięcia.

⁴ National Health Statistic: [Growth Charts: What to know](#) (data dostępu: 29.04.2026 r.)

⁵ [Growth Charts – Data file for the CDC Extended BMI-for-Age Growth Charts](#) (data dostępu: 29.04.2026 r.)

		<u>Youssef 2012</u> Autorzy badania wskazują jedynie, że dzieci z ESRD miały znacznie obniżone tempo wzrastania przed leczeniem, a następnie oceniano jego poprawę po terapii rhGH, bez stosowania progów SDS jako kryteriów włączenia.
	Dodano zapis: <i>„pacjenci z PCHN stadium 3-5 lub dializowani w wieku > 6 miesięcy życia ze wzrostem <10 centyla i tempem wzrastania < 25 centyla”.</i>	Komentarz analityków Agencji: sugeruje się dodanie łącznika „lub” między dodanym punktem a punktem poprzedzającym w kryteriach kwalifikacji. Zapis pozwala włączyć dodatkową / nową względem obecnego PL grupę pacjentów, którzy nie osiągnęli jeszcze wzrostu na poziomie 3 centyla, ale u których obserwuje się już zmniejszone tempo wzrastania. Proponowany zapis jest zgodny z treścią wytycznych. ChPL Nie odniesiono się do ocenianego kryterium. Wytyczne: Zaleca się, aby dzieci z przewlekłą chorobą nerek (PChN) w stadium 3–5 lub dializowane, w wieku powyżej 6 miesięcy, były kandydatami do terapii hormonem wzrostu (GH), jeśli mają utrzymujące się opóźnienie wzrastania, definiowane jako wzrost < 3. percentyla dla wieku i płci oraz szybkie tempo wzrostu < 25 percentyla, po tym jak odpowiednio uwzględniono inne potencjalnie możliwe do leczenia czynniki ryzyka opóźnienia wzrostu, pod warunkiem, że dziecko ma potencjał wzrostu. [rekomendacja umiarkowana] Zaleca się rozważenie terapii hormonem wzrostu u dzieci z przewlekłą chorobą nerek w stadium 3–5 lub dializowanych, w wieku powyżej 6 miesięcy, które mają wzrost między trzecim a dziesiątym percentylem, ale utrzymującą się niskie tempo wzrostu (< 25 percentyla), gdy inne potencjalnie możliwe do leczenia czynniki ryzyka zahamowania wzrostu zostały odpowiednio uwzględnione. [rekomendacja słaba] Badania: <u>Hodson 2012</u> W przeglądzie zdefiniowano populację bardziej ogólnie: jako dzieci z przewlekłą chorobą nerek o różnym stopniu zaawansowania (w tym dializowanych i po transplantacji) oraz z klinicznie istotnym zahamowaniem wzrostu, bez jednolitego zestawu progów dla wszystkich włączonych badań. <u>Youssef 2012</u> Badanie obejmowało wyłącznie dzieci z krańcową niewydolnością nerek (ESRD) leczone hemodializą.
	Zmieniono zapis kryterium: <i>„opóźniony wiek szkieletowy, poniżej 12,5 lat dla chłopców i poniżej 11,5 lat dla dziewczynek, według norm Greulich’a i Pyle”</i> na: <i>„niezarośnięte nasady kości długich (na podstawie wieku szkieletowego)”.</i>	Komentarz analityków Agencji: oba zapisy (aktualny i proponowany) odnoszą się do oceny wieku szkieletowego, jednakże zapis dotyczący niezarośniętych kości długich związany jest z brakiem zakończenia dojrzewania kostnego, co oznacza potencjalnie szersze możliwości kwalifikacji do programu. Nowe kryterium kwalifikacji umożliwi leczenie pacjentów, którzy przekraczają obecny próg wieku szkieletowego, ale mają nadal niezarośnięte nasady kości długich, tj. istnieje u nich nadal potencjał wzrostowy. Opinie ekspertów: „Możliwość leczenia pacjentów w wieku nastoletnim z przewlekłą chorobą nerek (PChN) i niskorosłych z obniżonym wiekiem szkieletowym przed osiągnięciem skrajnej niskorosłości. Poprawi to znacznie samoocenę i funkcjonowanie społeczne wśród rówieśników”. ChPL ChPL Genotropin: Somatotropiny nie należy stosować u dzieci, u których nastąpiło zamknięcie stref wzrostu nasad kości długich.

		ChPL Omnitrope: Somatropiny nie wolno stosować do wspomagania wzrostu u dzieci ze skostniałymi przynasadami kości. Wytyczne: Zaleca się zaprzestanie terapii hormonem wzrostu, gdy zostanie wykazane zamknięcie nasad kości. [silna rekomendacja] Badania: <u>Hodson 2012</u> W przeglądzie nie określono szczegółowych progów wieku szkieletowego ani zamknięcia nasad jako standardowy warunek kwalifikacji. Wiek kostny i stan dojrzewania szkieletu były oceniane w części badań RCT, jednak nie zostały ujednolicone w metaanalizie jako wspólne kryterium włączenia. <u>Youssef 2012</u> W badaniu odniesiono się do faktu, iż dzieci miały niezarośnięte nasady kości długich / otwarte chrząstki wzrostowe, co było jednym z warunków umożliwiających potencjalny wzrost pod wpływem rhGH. Nie podano konkretnych wartości wieku szkieletowego ani klasyfikacji według norm Greulich'a i Pyle'a.
	Opinie ekspertów: Zaproponowane zmiany wpłyną na zwiększenie populacji kwalifikującej się do leczenia w programie o 10% (tj. o około 6 pacjentów). Eksperci wskazali, iż będzie to związane z włączaniem pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli tempa wzrastania i pacjentów między 3 a 10 centylem. Wytyczne: Zalecane jest rozważenie terapii GH u dzieci po przeszczepieniu nerki, u których oczekiwany wzrost wyrównawczy nie może zostać osiągnięty poprzez minimalizację stosowania sterydów lub u pacjentów, u których odstawienie sterydów nie jest możliwe ze względu na wysokie ryzyko immunologiczne, szczególnie u dzieci z nieoptymalną funkcją przeszczepionego narządu (eGFR <50 ml/min/1,73 m²). ChPL i komentarz analityków Agencji: Eksperci wskazują, że proponowane zmiany pozwolą włączyć do programu lekowego pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli wzrastania. Jednakże należy zwrócić uwagę, iż żaden z proponowanych zapisów nie wskazuje wprost na taką możliwość. Zgodnie z ChPL Omnitrope, leczenie somatotropiną należy przerwać w przypadku przeszczepienia nerki. W ChPL Genotropin wskazano, że w przypadku leczenia hormonem wzrostu pacjentów, u których istnieje konieczność przeszczepienia nerki, leczenie należy zakończyć niezwłocznie po przeszczepie. W żadnej z ChPL nie odniesiono się do możliwości stosowania somatotropiny u pacjentów po transplantacji nerki.	
Określenie czasu leczenia w programie	Dodano zapis: <i>„Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc (PTH > 500pg/ml) i powrót do leczenia, gdy PTH < 300pg/ml). Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący.</i> <i>Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu lub 75 centyla wzrostu; Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół</i>	Komentarz analityków Agencji: zapis umożliwia zawieszenie i ponowne włączenie pacjenta do leczenia w programie, bez konieczności ponownej kwalifikacji. Zmiana ta pozwoli na śledzenie całej ścieżki pacjenta w ramach PL B.38. ChPL <u>ChPL Genotropin:</u> (...). Aby potwierdzić zaburzenie wzrostu, przed rozpoczęciem leczenia należy przez rok obserwować tempo wzrastania. Podczas tego okresu należy ustalić sposób zachowawczego leczenia niewydolności nerek (<u>włącznie z przeciwdziałaniem kwasicy i nadczynności przytarczyc</u> oraz kontrolą stanu odżywienia). <u>ChPL Omnitrope:</u> (...) Przed rozpoczęciem leczenia należy przez rok monitorować tempo wzrostu w celu potwierdzenia zaburzeń wzrastania. W tym okresie należy wdrożyć zachowawcze leczenie niewydolności nerek (obejmujące wyrównanie kwasicy, <u>nadczynności przytarczyc</u> i kontrolę stanu odżywienia) i kontynuować je podczas leczenia. Opinie ekspertów:

	<i>Koordynujący, gdy tempo wzrastania ulegnie obniżeniu o 1 kanał centylowy."</i>	Zgodnie z otrzymanymi opiniami, aktualnie jest stosowana praktyka czasowego wyłączenia pacjentów z programu, a następnie (po ponownej kwalifikacji) ponownego włączania. Eksperti wskazali, iż zaproponowane rozszerzenie zapisów dotyczących zawieszenia w podawaniu leków (w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc i/lub osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu) dotyczą aktualnie stosowanych w praktyce klinicznej sytuacji. Wytyczne: Rekomendowane jest zaprzestanie terapii hormonem wzrostu u pacjentów z utrzymującą się ciężką wtórną nadczynnością przytarczyc (PTH > 500 pg/ml). GH może być ponownie włączony, gdy poziomy PTH wróci do docelowego zakresu. [zalecenie umiarkowane]
Kryteria wyłączenia	Zmiana skrótu „PNN” na „PCHN”.	Komentarz analityków Agencji: zmiana porządkowa, bez wpływu na liczebność populacji i koszty realizacji PL. Sugeruje się ujednolicenie skrótu używanego w treści PL ze skrótem w tytule PL.
	Zmieniono zapis kryterium: „zaburzenia przemian węglowodanowych” na „niewyrównana cukrzyca”.	Komentarz analityków Agencji: zmiana może wpłynąć na liczebność populacji pozostającej w programie – złagodzenie kryteriów wyłączenia. ChPL: U dzieci leczonych somatotropiną zgłaszano rzadkie przypadki cukrzycy typu II. Ponadto, wskazano, iż za możliwe skutki działania somatotropiny można uznać hiperglikemię spowodowaną zmniejszoną wrażliwością na insulinę, obniżonym poziomem wolnej tyroksyny i łagodnym nadciśnieniem śródczaszkowym.
	Dodano kryteria wyłączenia: „pseudo tumor cerebri” i „złuszczenia nasady kości udowej”.	Komentarz analityków Agencji: dodane kryteria wyłączenia są związane z potencjalnymi działaniami niepożądanymi, które mogą wystąpić u pacjentów leczonych somatotropiną. Zmiana nie wpłynie na liczebność populacji i koszty realizacji PL. ChPL: <u>W ChPL Genotropin</u> wskazano, iż podczas leczenia dzieci somatotropiną niezbyt często ($\geq 1/1000$ do $1/100$) występuje łagodne nadciśnienie śródczaszkowe. U dzieci leczonych hormonem wzrostu zgłaszano przypadki młodzieńczego złuszczenia głowy kości udowej. Złuszczenie nasady głowy kości udowej występuje częściej w przypadku zaburzeń endokrynologicznych. Nie jest wiadome jednak, czy patologia ta występuje częściej, czy nie podczas leczenia somatotropiną. <u>W ChPL Omnitrope</u> wskazano, iż w przypadku wystąpienia silnych lub nawracających bólów głowy, zaburzeń widzenia, nudności i (lub) wymiotów zaleca się wykonanie badania dna oka ze zwróceniem uwagi na występowanie obrzęku nerwu wzrokowego (tarczy zastoinowej). W razie potwierdzenia takiego podejrzenia należy brać pod uwagę rozpoznanie łagodnego nadciśnienia śródczaszkowego i ewentualnie zaprzestać podawania hormonu wzrostu. Obecnie nie ma wystarczających danych, które byłyby pomocne w podejmowaniu decyzji o dalszym sposobie leczenia pacjentów, u których nadciśnienie śródczaszkowe ustąpiło. Jeśli powraca się do podawania hormonu wzrostu, konieczna jest dokładna obserwacja pacjentów pod kątem objawów związanych z nadciśnieniem śródczaszkowym. U pacjentów z zaburzeniami endokrynologicznymi przebiegającymi z niedoborem hormonu wzrostu, złuszczenie nasad kości udowych występuje częściej niż w populacji ogólnej. Pacjenci, którzy kuleją w trakcie leczenia somatotropiną, powinni być zbadani klinicznie. Wytyczne: Zleca się zaprzestanie terapii GH w przypadku wystąpienia nadciśnienia wewnątrzczaszkowego. [silne zalecenie] Zleca się zaprzestanie terapii GH u pacjentów z przemieszczeniem nasady głowy kości udowej. [silne zalecenie]

	Opinie ekspertów: Zaproponowane zmiany wpłyną na niewielkie zwiększenie liczebności pacjentów leczonych w PL: od 0,2% do 1,7%.	
Badania przy kwalifikacji	Rozszerzono zakres / rodzaj badań wykonywanych przy kwalifikacji do programu.	Komentarz analityków Agencji: potencjalny wzrost kosztów kwalifikacji i monitorowania leczenia w ramach PL. Jednakże należy zauważyć, iż diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek rozliczana jest w ramach Katalogu ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych, tj. NFZ finansuje diagnostykę w tym programie jako całościowe świadczenie ryczałtowe przypisane do programu, a nie jako odrębnie wyceniane i raportowane pojedyncze badania laboratoryjne lub obrazowe. Wytyczne: Nie odniesiono się do badań zalecanych przy kwalifikacji do terapii GH. W zakresie monitorowania leczenia, zaleca się wizyty kontrolne co 3–6 miesięcy lub częściej u młodych pacjentów oraz u osób z zaawansowaną chorobą nerek (CKD) w celu monitorowania wzrostu, tempa wzrostu, rozwoju płciowego, dojrzałości szkieletowej na podstawie zdjęć radiologicznych nadgarstka, funkcji nerek, poziomów hormonów tarczycy (TSH i wolne T3), stężenia glukozy w surowicy, wapnia, fosforu, wodorowęglanów oraz poziomu hormonu przytarczyc. [zalecenie słabe] ChPL Nie odniesiono się do konkretnych badań koniecznych do kwalifikacji i monitorowania leczenia.
Monitorowanie leczenia	Zmodyfikowano zakres / rodzaj badań wykonywanych w ramach monitorowania leczenia w programie.	

6. Wpływ na wydatki płatnika publicznego

6.1. Metodologia

Perspektywa

Wyniki analizy zostały przedstawione z perspektywy płatnika publicznego (NFZ).

Horyzont czasowy

W analizie przyjęto 2-letni horyzont obserwacji. Jako początek prognozowanego horyzontu czasowego przyjęto 1 stycznia 2027 roku.

Scenariusze

W analizie porównano ze sobą następujące scenariusze:

- **scenariusz aktualny** przedstawia prognozę wielkości populacji i kosztów NFZ dla lat 2027- 2028 przy założeniu braku zmian w programie lekowym B.38 (utrzymanie aktualnych zapisów);
- **scenariusz nowy** przedstawia prognozę wielkości populacji i kosztów NFZ dla lat 2027- 2028 przy założeniu wprowadzenia nowych zapisów w programie lekowym B.38.

Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika.

Dane źródłowe

Analizę oparto na danych z Modułu Eksploracji Rynku Leków (MERL), obejmujących liczbę pacjentów włączonych do programu lekowego B.38 w latach 2013–2025 oraz koszty programu rozliczone przez NFZ. Dodatkowo wykorzystano informacje pochodzące z opinii ekspertów klinicznych (prof. dr hab. n. med. Mieczysław Walczak - przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu, Kierownik Kliniki Pediatrii, Endokrynologii, Diabetologii, Chorób Metabolicznych i Kardiologii Wieku Rozwojowego oraz prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska, Kierownik kliniki - Katedra i Klinika Pediatrii i Nefrologii).

Uzyskane dane historyczne z lat 2013–2025 wykorzystano do wyznaczenia prognozy liczebności populacji i wydatków NFZ w horyzoncie analizy (lata 2027–2028). Prognozowanie przeprowadzono w programie Microsoft Excel z wykorzystaniem funkcji forecast.ets. Z uwagi na niepełny zakres danych dostępnych dla 2026 r., wartości dla tego roku oszacowano z wykorzystaniem tej samej metody prognozowania.

6.2. Scenariusz aktualny (brak zmian w programie lekowym)

6.2.1. Liczebność pacjentów w scenariuszu aktualnym

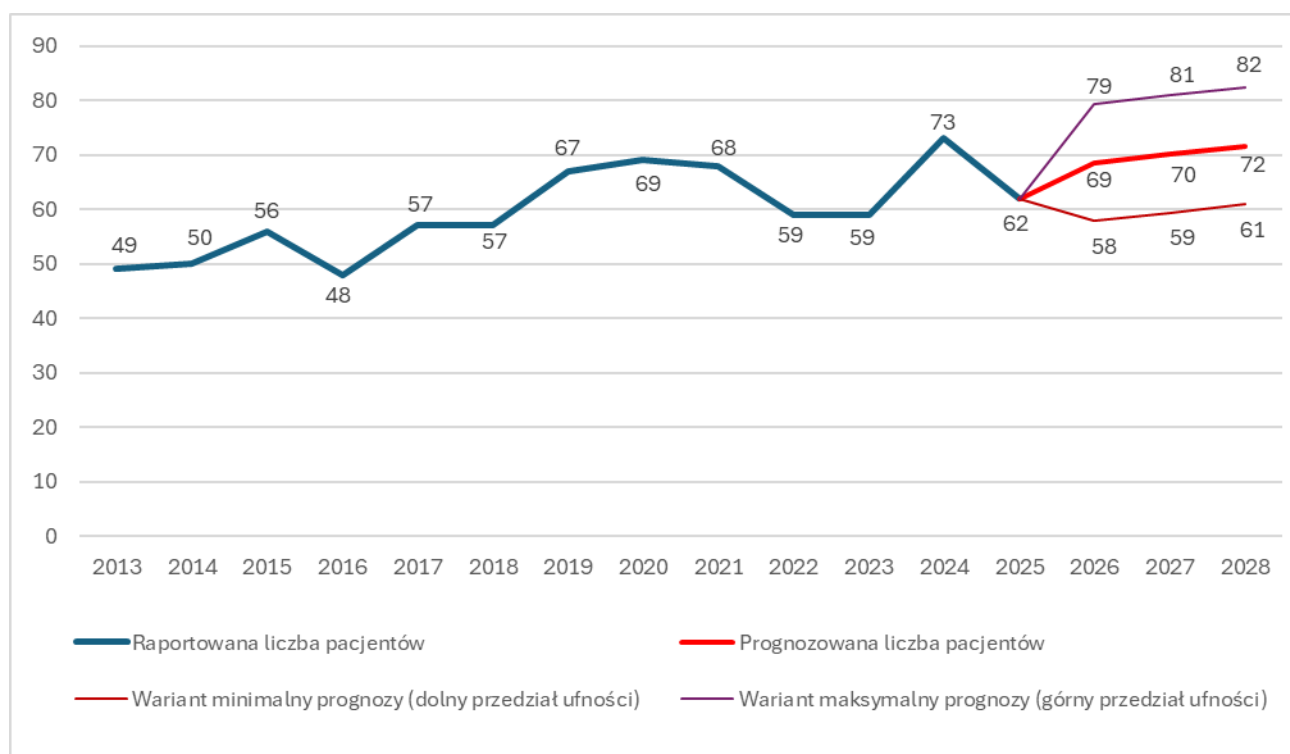
W tabeli poniżej przedstawiono prognozę liczebności pacjentów leczonych w programie lekowym B.38 dla pełnego roku 2026 i kolejnych lat (2027- 2028), przy założeniu utrzymania aktualnych zapisów programu lekowego.

Tabela 8. Prognoza liczby pacjentów w programie lekowym B.38 przy założeniu braku zmian w treści programu

Pacjenci leczeni w programie lekowym B.38	2022	2023	2024	2025	2026	2027	2028
Dane raportowane*	59	59	73	62	-	-	-
Prognoza AOTMiT** (wariant podstawowy)	-	-	-	-	69	70	72

* Źródło danych: Moduł Eksploracji Rynku Leków (dostęp 20.04.2026). Pełny zakres uzyskanych danych (lata 2013-2025) znajduje się na wykresie 1.

** Prognoza przeprowadzona na podstawie ekstrapolacji danych z lat 2013-2025.



Wykres 1. Prognoza liczby pacjentów w programie lekowym B.38 przy założeniu braku zmian w treści programu

W opinii ekspertów klinicznych: prof. Małgorzaty Pańczyk-Tomaszewskiej oraz prof. Mieczysława Walczaka – aktualnie (tj. kwiecień 2026 r.) w programie B.38 leczenie przyjmuje 52 pacjentów. Oszacowania ekspertów sugerują zgodność z przedstawionym powyżej wariantem minimalnym i podstawowym prognozy, zakładającym, że do końca 2026 r. do programu będzie zakwalifikowanych 58-69 pacjentów.

6.2.2. Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu aktualnym

Na podstawie danych z Modułu Eksploracji Rynku Leków (dostęp 21.04.2026) ustalono średnie roczne koszty leczenia i monitorowania pacjenta w ramach programu lekowego B.38.

Tabela 9. Średni roczny koszt rozliczonych świadczeń w programie lekowym B.38 w przeliczeniu na 1 pacjenta [zł]

Świadczenie	2021	2022	2023	2024	2025
Koszt leku (somatotropina)	5 076	4 693	10 515	20 921**	7 929
Koszt pozostałych świadczeń*	2 726	3 421	4 582	5 634	7 327
Łącznie	7 799	7 854	17 301	25 102	14 713

* hospitalizacja związana z wykonaniem programu, hospitalizacja związana z wykonaniem programu u dzieci, hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu, przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu, kwalifikacja do leczenia w programie lekowym oraz weryfikacja jego skuteczności, diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN) hormonem wzrostu.

** Wyraźnie wyższe koszty somatotropiny ponoszone w 2024 r. wynikają z zawyżonej ceny leku uzyskanej w przetargu realizowanym przez MZ⁶: „W roku 2023 stwierdzane są niedobory rekombinowanego, ludzkiego hormonu wzrostu na rynkach światowych, które są szacowane na około 40% zapotrzebowania. Deficyty Somatotropinum na rynku globalnym spowodowane są trudnościami na etapie produkcji Firm Pfizer Polska Sp. z o.o. oraz Novo Nordisk Pharma Sp. z o.o. 20 kwietnia 2023 roku, Zakład Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia zorganizował przetarg na zakup rekombinowanego, ludzkiego hormonu wzrostu. Jediną ofertę złożyła firma LEK S.A., która zaoferowała cenę za 1 mg Somatotropinum, pod nazwą handlową Omnitrope, na poziomie niemal sześciokrotnie wyższym niż w poprzednich postępowaniach przetargowych [...]. Należy oczekiwać przy tym, iż po ponownym uruchomieniu linii produkcyjnej jednego z największych producentów rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu nie tylko znacznie zwiększy się dostępność do tego leku,

⁶ <https://www.gov.pl/web/zdrowie/petycja-z-23-maja-2023-r-w-sprawie-hormonu-wzrostu>

ale także obniży się jego cena. Biorąc pod uwagę powyższe, Minister Zdrowia informuje, iż sytuacja związana z dostępnością rekombinowanego ludzkiego hormonu wzrostu dla pacjentów leczonych w programach lekowych, została ustabilizowana”

W tabeli poniżej przedstawiono prognozę rocznych wydatków płatnika publicznego ponoszonych na realizację programu lekowego B.38. przy założeniu utrzymania niezmiennionej treści programu.

Tabela 10. Prognoza wydatków NFZ związanych z realizacją programu lekowego B.38 – aktualne zapisy programu lekowego [zł]

Wydatki NFZ w programie lekowym B.38	2022	2023	2024	2025	2026	2027	2028
Dane raportowane*	463 399	1 020 757	1 832 435	912 230	-	-	-
Prognoza AOTMiT** (wariant podstawowy)	-	-	-	-	1 009 475	1 031 756	1 054 036

* Źródło danych: Moduł Eksploracji Rynku Leków (dostęp 20.04.2026). Pełny zakres uzyskanych danych (lata 2013-2025) znajduje się w dołączonym do niniejszego raportu pliku MS Excel

** Iloczyn wielkości populacji oszacowanej na podstawie ekstrapolacji trendu liniowego z lat ubiegłych i średniego kosztu leczenia 1 pacjenta w programie B.38 w 2025 r.

6.3. Scenariusz nowy (nowe zapisy programie lekowym)

6.3.1. Liczebność pacjentów w scenariuszu nowym

Proponowane zmiany w kryteriach włączenia do programu B.38 mogą **rozszerzyć liczebność pacjentów** kwalifikujących się do leczenia w zakresie subpopulacji:

- dzieci z PChN stadium 3–5 lub dializowanych, ze wzrostem poniżej 10. centyla i tempem wzrastania poniżej 25. centyla. Proponowany zapis umożliwia kwalifikację na wcześniejszym etapie zaburzeń wzrastania i umożliwia rozpoczęcie leczenia u dzieci z wzrostem pomiędzy 3 a 10 centylem. Zgodnie z opinią ankietowanych ekspertów, ponad 80% dzieci obecnie włączonych do programu B.38 znajduje się w stadium 3-5 co wskazuje na istotne znaczenie złagodzenia kryteriów kwalifikacji dla pacjentów w tym stanie klinicznym;
- pacjentów z niezarośniętymi nasadami kości długich – proponowany zapis umożliwia leczenie pacjentów w wieku nastoletnim, będących bliżej zakończenia okresu wzrastania, u których potencjał wzrostowy jest ograniczony, ale nadal istnieje;
- pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli tempa wzrastania (jest to subpopulacja wskazana przez ankietowanych ekspertów, jednakże zapisy programu lekowego nie odnoszą się literalnie do pacjentów po transplantacji).

Zaproponowane zmiany w kryteriach wyłączenia z programu wskazują zarówno na potencjalne rozszerzenie dostępu do leczenia w programie (złagodzenie kryterium dot. cukrzycy), jak również na dodatkowe kryteria wykluczające (stwierdzenie pseudo tumor cerebri oraz złuszczenia nasady kości udowej). W opinii ekspertów, nowe kryteria wyłączenia będą miały minimalny wpływ na wielkość populacji pacjentów w programie lekowym.

Dokonana przez ekspertów całościowa i wieloczynnikowa ocena wpływu wszystkich zmian w programie lekowym B.38 wskazuje na przewidywane zwiększenie populacji pacjentów o łącznie 10,2 – 11,7%. Do dalszej analizy wykorzystano średnią uzyskaną w powyższych oszacowań (10,95%).

Tabela 11. Wpływ zaproponowanych zmian w programie lekowym B.38 na liczebność pacjentów

Treść PL	prof. Małgorzata Pańczyk-Tomaszewska	prof. dr hab. n. med. Mieczysław Walczak
Kryteria kwalifikacji pacjenta do leczenia w programie	Zwiększenie o 10% Wzrost liczby pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli wzrastania; wzrost liczby pacjentów leczonych o grupę między 3 a 10 centylem.	Zwiększenie o 10% (wzrost ilości pacjentów po transplantacji nerki, którzy nie przyspieszyli tempa wzrastania).
Kryteria wyłączenia pacjenta z udziału w programie	Brak wpływu/minimalne zwiększenie o 1,7%.	Zwiększenie o 0,2% (szybsze osiągnięcie wzrostu prognozowanego).

	Niewielki wzrost liczby pacjentów lub liczebność bez zmian, ponieważ wcześniejsze rozpoczęcie leczenia pozwoli wcześniej osiągnąć wzrost ostateczny.	
Dawkowanie leków w programie	-	-
Określenie czasu leczenia pacjenta w programie	Ekspert potwierdził, iż zaproponowane rozszerzenie zapisów dotyczących zawieszenia w podawaniu leków (w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc i/lub osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu) dotyczą aktualnie stosowanych w praktyce klinicznej sytuacji. W związku z powyższym, zmiany zapisów nie wpłyną istotnie na wielkość populacji włączonych do programu.	
Badania przy kwalifikacji pacjenta do leczenia w programie	-	-
Monitorowanie leczenia	-	-
Monitorowanie programu	-	-

W tabeli poniżej przedstawiono wpływ zaproponowanych zmian w programie lekowym na wielkość populacji pacjentów (wzrost o 10,95%).

Tabela 12. Prognoza liczby pacjentów w programie lekowym B.38 przy uwzględnieniu nowych zapisów

Pacjenci leczeni w programie lekowym B.38	2022	2023	2024	2025	2026	2027	2028
Dane raportowane*	59	59	73	62	-	-	-
Prognoza AOTMiT** (wariant podstawowy)	-	-	-	-	76	78	79

* Źródło danych: Moduł Eksploracji Rynku Leków (dostęp 20.04.2026). Pełny zakres uzyskanych danych historycznych (lata 2013-2025) znajduje się na wykresie 1.

** Prognoza przeprowadzona na podstawie ekstrapolacji danych historycznych z lat 2013-2025, powiększonej o 10,95%.

6.3.2. Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu nowym

W tabeli poniżej zaprezentowano prognozę wydatków NFZ w scenariuszu zakładającym rozszerzenie populacji pacjentów leczonych w programie o 10,95%.

Tabela 13. Prognoza wydatków NFZ związanych z realizacją programu lekowego B.38 – nowe zapisy programu lekowego [zł]

Wydatki NFZ w programie lekowym B.38	2022	2023	2024	2025	2026	2027	2028
Dane raportowane*	463 399	1 020 757	1 832 435	912 230	-	-	-
Prognoza AOTMiT** (wariant podstawowy)	-	-	-	-	1 120 013	1 144 733	1 169 453

* Źródło danych: Moduł Eksploracji Rynku Leków (dostęp 20.04.2026). Pełny zakres uzyskanych danych (lata 2013-2025) znajduje się w dołączonym do niniejszego raportu pliku MS Excel

** Iloczyn prognozowanej, powiększonej wielkości populacji i średniego kosztu leczenia 1 pacjenta w programie B.38 w 2025 r.

W niniejszym opracowaniu odstąpiono od oceny finansowego wpływu dodania/usunięcia poszczególnych badań diagnostycznych związanych z realizacją programu lekowego B.38 z uwagi na sposób rozliczania tych świadczeń przez płatnika publicznego.

Diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek rozliczana jest w ramach *Katalogu ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych* (kod świadczenia 5.08.08.0000047)⁷,

⁷ Zarządzenie nr 11/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 28 stycznia 2026 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenia szpitalne w zakresie programy lekowe: [Akt prawny: Zarządzenie-11_2026_DGL - Baza Aktów Własnych](#)

co oznacza, iż NFZ finansuje diagnostykę w tym programie jako całościowe świadczenie ryczałtowe przypisane do programu, a nie jako odrębnie wyceniane i raportowane pojedyncze badania laboratoryjne lub obrazowe.

Z uwagi na fakt, że metodologia stosowana przez NFZ do ustalania wartości punktowych świadczeń ujętych w *Katalogu ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych* nie jest jawna, brak jest wiarygodnych możliwości oceny finansowego wpływu dodania lub usunięcia poszczególnych badań diagnostycznych w niej zawartych.

Ponadto, w Planie Taryfikacji na 2025 rok⁸ ujęto prace nad aktualizacją wyceny ryczałtów diagnostycznych dla nieonkologicznych programów lekowych, obejmujących program lekowy B.38.

6.4. Wyniki analizy wpływu na budżet

W tabeli poniżej przedstawiono podsumowanie wpływu przedmiotowych zmian w programie lekowym B.38 na budżet płatnika publicznego w 2-letnim horyzoncie czasowym (lata 2027-2028).

Tabela 14. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy NFZ w wariancie podstawowym

Wydatki NFZ	Wynik z perspektywy NFZ [PLN]	
	1 rok (2027)	2 rok (2028)
Scenariusz istniejący	1 031 756 zł	1 054 036 zł
Scenariusz nowy	1 144 733 zł	1 169 453 zł
Wydatki inkrementalne	112 977 zł	115 417 zł

Analiza wpływu na budżet wykazała, że zaproponowane zmiany w programie lekowym B.38 będą związane z dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego na poziomie 113 tys. zł w I roku oraz 115 tys. zł w II roku analizy (wariant podstawowy prognozy).

W wariancie minimalnym prognozy, wydatki płatnika publicznego będą kształtować się na poziomie 96 tys. zł w I roku i 98 tys. zł w II roku, natomiast w wariancie maksymalnym - wydatki płatnika publicznego będą wynosić 130 tys. zł w I roku i 133 tys. zł w II roku.

⁸ Źródło: <https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/taryfikacja/plany/Plan%20Taryfikacji%20na%20rok%202025.pdf> (dostęp 28.03.2026 r.)

7. Źródła

Badania pierwotne i wtórne

- Hodson 2012** Hodson EM, Willis NS, Craig JC. Growth hormone for children with chronic kidney disease. Cochrane Database of Systematic Reviews 2012, Issue 2. Art. No.: CD003264. DOI: 10.1002/14651858.CD003264.pub3. [data dostępu: 28.04.2026 r.] <https://www.cochranelibrary.com/cdsr/doi/10.1002/14651858.CD003264.pub3/full>
- Youssef 2012** Youssef DM. Results of recombinant growth hormone treatment in children with end-stage renal disease on regular hemodialysis. Saudi J Kidney Dis Transpl. 2012 Jul;23(4):755-64. doi: 10.4103/1319-2442.98157. PMID: 22805388. [data dostępu: 28.04.2026 r.] <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/22805388/>

Rekomendacje kliniczne

- ESPN 2019** Drube J., Wan M., Bonthuis M., et al.: Clinical practice recommendations for growth hormone treatment in children with chronic kidney disease. Nat Rev Nephrol. 2019 Sep;15(9):577-589. doi: 10.1038/s41581-019-0161-4. Epub 2019 Jun 13. PMID: 31197263; PMCID: PMC7136166.

Pozostałe publikacje

- ChPL Genotropin** Charakterystyka Produktu Leczniczego Genotropin
- ChPL Omnitrope** Charakterystyka Produktu Leczniczego Omnitrope
- Ziółkowska 2010** Ziółkowska H.: Przewlekła choroba nerek u dzieci. Borgis - Nowa Pediatria 2/2010, s. 50-66 <https://www.czytelniamedyczna.pl/3350,przewlekla-choroba-nerek-u-dzieci.html> (data dostępu: 28.04.2026 r.)
- Leszczyńska 2022** Leszczyńska B., Deja A., Daniel M., et al.: Twenty-five years of growth hormone treatment in non-dialyzed children with chronic kidney disease in Poland – efficacy, safety, metabolic effects, and factors influencing response. Pediatr Pol 2022; 97 (3): 200-212. DOI: <https://doi.org/10.5114/polp.2022.120131>
- mp.pl** Strona internetowa: https://www.mp.pl/pytania/pediatrica/table/025_7451 (data dostępu: 28.04.2026 r.)

8. Załączniki

8.1. Aktualnie obowiązujący program lekowy B.38 LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z PRZEWLEKŁĄ NIEWYDOLNOŚCIĄ NEREK (PNN) (ICD-10 N18)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Do programu kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powołany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. 1.Kryteria kwalifikacji - klirens kreatyniny niższy niż 75 ml/1,73m²/min.; - wysokość ciała dziecka poniżej -1,88 odchylenia standardowego (SDS), dla płci i wieku metrykalnego lub tempo wzrastania SDS poniżej - 2.0; - opóźniony wiek szkieletowy, poniżej 12,5 lat dla chłopców i poniżej 11,5 lat dla dziewczynek, według norm Greulich'a i Pyle; - wykluczenie innych przyczyn niskorosłości. 2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia. 3. Kryteria wyłączenia - inna aniżeli PNN przyczyna niskorosłości; - zaburzenia przemian węglowodanowych; - choroba nowotworowa, - niezadowalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała świadczeniobiorcy leczonego hormonem wzrostu poniżej 3cm na rok (nie dotyczy dziewcząt z wiekiem kostnym powyżej 14 lat oraz chłopców z wiekiem kostnym powyżej 16 lat); - osiągnięcie wieku kostnego powyżej 16 lat przez dziewczynkę i powyżej 18 lat przez chłopca.	1. Dawkowanie Somatotropina podawana codziennie wieczorem w dawce: 0,33 mg-0,37 mg (1,0-1,1 IU)/kg masy ciała/tydzień.	1. Badania przy kwalifikacji 1) pomiar stężenia IGF-1; 2) badania densytometryczne; 3) RTG stawów biodrowych. Badania wykonywane według standardów diagnozowania świadczeniobiorców z przewlekłą niewydolnością nerek. 2.Monitorowanie leczenia 2.1 Co 30 dni w 3 - 4 stadium choroby: 10) stężenie parathormonu (intact PTH); 11) fosfataza alkaliczna; 12) proteinogram; 13) stężenie glukozy we krwi; 14) stężenie kreatyniny; 15) stężenie mocznika; 16) jonogram w surowicy krwi (Na⁺, K⁺, Ca⁺⁺, Ca zjonizowany⁺, P⁻); 17) morfologia krwi z rozmazem; 18) gazometria. 2.2 Co 90 dni 1) u dzieci z wadami układu moczowo-płciowego, u innych w zależności od potrzeb: c) konsultacja urologiczna, d) USG jamy brzusznej, 2) konsultacja dietetyka; 3) w 2 stadium choroby: j) stężenie parathormonu (intact PTH), k) fosfataza alkaliczna, l) proteinogram,

		m) stężenie glukozy we krwi, n) stężenie kreatyniny, o) stężenie mocznika, p) jonogram w surowicy krwi (Na+, K+, Ca++, Ca zjonizowany+, P-), q) morfologia krwi z rozmazem, r) gazometria. 2.3 Po 90 dniach 1) stężenie IGF-1. 2.9 Co 365 dni 1) stężenie triglicerydów; 2) stężenie całkowitego cholesterolu; 3) stężenie IGF-1; 4) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 5) w uzasadnionych przypadkach: a) badania densytometryczne, b) RTG stawów biodrowych, c) konsultacja okulistyczna, d) konsultacja ortopedyczna, e) cystouretografia, 6) przy podejrzeniu złuszczenia głowy kości udowej, u innych w zależności od potrzeb: a) konsultacja ortopedyczna, b) RTG/USG stawów biodrowych, c) TK z kontrastem stawów biodrowych, 7) u dzieci z wadami układu moczowo-płciowego, u innych w zależności od potrzeb: c) badanie ogólne moczu, d) posiew moczu. Badania wykonywane według standardów monitorowania terapii hormonem wzrostu świadczeniobiorców PNN. 3. Monitorowanie programu 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.
--	--	--

8.2. Projekt proponowanego programu lekowego B.38 LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z PRZEWLEKŁĄ NIEWYDOLNOŚCIĄ NEREK (PNN) (ICD-10 N18)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Do programu kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Do czasu aktualizacji aplikacji SMPT, dopuszcza się udział pacjenta w programie na podstawie akceptacji Zespołu Koordynacyjnego ds. Stosowania Hormonu Wzrostu, uzyskanej w inny sposób niż za pośrednictwem aplikacji SMPT. 1.Kryteria kwalifikacji 1) eGFR<75 ml/min/ 1,73m²; 2) wysokość ciała dziecka poniżej <3centyla dla płci i wieku metrykalnego; 3) pacjenci z PCHN stadium 3-5 lub dializowani w wieku > 6 miesięcy życia ze wzrostem <10 centyla i tempem wzrastania <25centyla; 4) wykluczenie innych przyczyn niskorosłości; 5) niezarośnięte nasady kości długich (na podstawie wieku szkieletowego). 2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia. Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku wystąpienia ciężkiej nadczynności przytarczyc (PTH > 500pg/ml) i powrót do leczenia, gdy PTH < 300pg/ml). Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący.	1. Dawkowanie Somatotropina podawana codziennie wieczorem w dawce: 0,33 mg-0,37 mg (1,0-1,1 IU)/kg masy ciała/tydzień.	1. Badania przy kwalifikacji Badania wykonywane według standardów diagnozowania świadczeniobiorców z przewlekłą niewydolnością nerek (kreatynina, mocznik, Ca, P, ALP, PTH, gazometria, 25OHD3, albuminy, białko całkowite, glukoza, morfologia, lipidogram). 1) pomiar stężenia IGF-1; 2) hemoglobina glikowana Hb1Ac 3) stężenie TSH i fT4 4) badania densytometryczne; 5) RTG stawów biodrowych; 6) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 7) badanie dna oka; 8) ocena dojrzwania wg skali Tannera 2.Monitorowanie leczenia 2.1 Co 30 dni w 3 - 4 stadium choroby: 1) stężenie parathormonu (intact PTH); 2) fosfataza alkaliczna; 3) proteinogram; 4) stężenie glukozy na czczo; 5) stężenie kreatyniny; 6) stężenie mocznika; 7) jonogram w surowicy krwi (Na⁺, K⁺, Ca⁺⁺, Ca zjonizowany⁺, P⁻); 8) morfologia krwi z rozmazem; 9) gazometria. 2.2 Co 90 dni 10) konsultacja dietetyka; 11) stężenie parathormonu (intact PTH); 12) fosfataza alkaliczna; 13) białko całkowite, albuminy;

Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku w przypadku osiągnięcia przez pacjenta prognozowanego wzrostu lub 75 centyla wzrostu; Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, będą ponownie włączani do podawania leku bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący, gdy tempo wzrastania ulegnie obniżeniu o 1 kanał centylowy. 3. Kryteria wyłączenia 1) inna aniżeli PCHN przyczyna niskorosłości; 2) niewyrównana cukrzyca; 3) choroba nowotworowa, 4) niezadowalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała świadczeniobiorcy leczonego hormonem wzrostu poniżej 3cm na rok (nie dotyczy dziewcząt z wiekiem kostnym powyżej 14 lat oraz chłopców z wiekiem kostnym powyżej 16 lat); 5) osiągnięcie wieku kostnego powyżej 16 lat przez dziewczynkę i powyżej 18 lat przez chłopca; 6) pseudo tumor cerebri; 7) złuszczenia nasady kości udowej		14) stężenie glukozy na czczo; 15) stężenie kreatyniny; 16) stężenie mocznika; 17) jonogram w surowicy krwi (Na⁺, K⁺, Ca⁺⁺, Ca, P⁻); 18) morfologia krwi z rozmazem; 19) gazometria. 2.3 Po 90 dniach 20) stężenie IGF-1. 2.9 Co 365 dni 1) Lipidogrami, stężenie IGF-1; 2) stężenie parathormonu (intact PTH); 3) fosfataza alkaliczna; 4) białko całkowite, albuminy; 5) stężenie glukozy na czczo; 6) stężenie kreatyniny; 7) stężenie mocznika; 8) jonogram w surowicy krwi (Na⁺, K⁺, Ca⁺⁺, Ca, P) 9) morfologia krwi z rozmazem, 10) gazometria; 11) pomiar stężenia TSH, fT3; 12) Hemoglobina glikowana Hb1Ac; 13) stężenie witaminy 25OH wit. D lub/i wit. 1,25(OH)2D3 w uzasadnionych przypadkach; 14) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 15) badania densytometryczne; 16) RTG stawów biodrowych; 17) konsultacja ortopedyczna Przy podejrzeniu złuszczenia nasady głowy kości udowej, u innych w zależności od potrzeb. Badania wykonywane według standardów monitorowania terapii hormonem wzrostu świadczeniobiorców PCHN. 3. Monitorowanie programu 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.
--	--	---