



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 78/2026 z dnia 8 czerwca 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
produktów leczniczych zawierających hydroksykobalaminę
w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację produktów leczniczych:

- *Hydroxocobalamine Acetate Sterop, roztwór do wstrzykiwań 10 mg/2 ml,*
- *Megamilbedoce, roztwór do wstrzykiwań 10 mg/2 ml,*
- *Hydrocobamine, roztwór do wstrzykiwań 1 mg/2 ml,*
- *Vitamin B12 Depot, roztwór do wstrzykiwań 1 mg/2 ml,*
- *Vitamin B12 Depot, roztwór do wstrzykiwań 1 mg/ml,*

we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, hiperhomocysteinemia związana z zaburzeniami metabolizmu kobalaminy, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, deficyt kobalaminy C, deficyt reduktazy metylenotetrahydrofolianu (deficyt MTHFR) oraz neuropatia drobnych włókien nerwowych (spowodowana przewlekłym niedoborem witaminy B12).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

W 2021 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywne stanowisko nr 135/2021, a Prezes Agencji pozytywną rekomendację nr 135/2021 w przedmiocie wydawania zgód na refundację produktów leczniczych: Hydroxycobalamin Acetate Sterop, ampułki 10 mg/2 ml, Hydroxocobalamin, ampułka 1 mg/ml, Vitamin B12 Depot, ampułki 1 mg/ml i Megamilbedoce, ampułki 10 mg/2 ml we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, hiperhomocysteinemia związana z zaburzeniami metabolizmu kobalaminy, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, deficyt kobalaminy C, deficyt reduktazy metylenotetrahydrofolianu (deficyt MTHFR). Aktualne zlecenie Ministerstwa Zdrowia (MZ), które zainicjowało wydanie przez Radę stanowiska dotyczy ponadto wskazania w postaci neuropatii

drobnych włókien nerwowych (spowodowaną przewlekłym niedoborem witaminy B12).

Neuropatia drobnych włókien nerwowych (SFN) powoduje zmiany w drobnomielinowych i bezmielinowych włóknach, a jej objawy kliniczne są często nieoczywiste i niewykrywalne w rutynowych badaniach przewodnictwa nerwowego. SFN często charakteryzuje się objawami czuciowymi, takimi jak parestezje, uczucie pieczenia i ból. Niedobór witaminy B12 jest jednym z czynników ryzyka SFN, jednak we wczesnym stadium choroby często nie jest rozpoznawany.

Dowody naukowe

W ramach aktualizacji dowodów naukowych odnaleziono następujące dokumenty:

- konsensus polskich ekspertów 2023 dotyczący diagnostyki i postępowania w zaburzeniach związanych z niedoborem witaminy B12,
- konsensus brazylijskich ekspertów 2025 dotyczący kobalaminy (witaminy B12) w celu leczenia zaburzeń powstałych w wyniku jej niedoboru,
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE) 2024 dotyczący diagnozy i postępowania w niedoborach witaminy B12 u osób powyżej 16 roku życia,
- UK Best Practice 2022 dotyczący postępowania w homocystynurii,
- ERKNet i MetabERN 2024 zalecenia dotyczące postępowania klinicznego w leczeniu nerek w kwasicy metylomalonowej,
- Olivieri 2026 dot. diagnostyki i leczenia zaburzeń remetylacji.

Odnalezione wytyczne zgodnie zalecają, aby leczenie zaburzeń metabolizmu kobalaminy (m.in.: homocystynurii, hiperhomocysteinemii związanej z zaburzeniami metabolizmu kobalaminy, deficytu kobalaminy) opierało się przede wszystkim na suplementacji witaminy B12, a ciągłość tego leczenia powinna zależeć od podstawowej przyczyny, która determinuje niedobór kobalaminy (np. hiperhomocysteinemii).

Wśród rekomendowanych preparatów do leczenia niedoborów wit. B12 (niezależnie od etiologii) zaleca się kobalaminę w formie tabletek lub do podania domięśniowego (w przypadku silnych niedoborów i objawów neurologicznych). Jako preferowaną formę wit. B12 konsensus polskich ekspertów 2023, UK Best Practice 2022 oraz ERKNet i MetabERN 2024 rekomendują zastosowanie hydroksykobalaminy, natomiast konsensus ekspertów z Brazylii 2025 oraz NICE 2024 nie wskazują określonej formy leku. Konsensus polskich ekspertów 2023 obok hydroksykobalaminy zaleca też cyjanokobalaminę.

Dodatkowo w kontekście podania domięśniowego hydroksykobalaminy polskie wytyczne zaznaczają, że terapię domięśniową zaleca się szczególnie w przypadku występowania objawów neurologicznych, zwłaszcza na początku wyrównywania niedoborów. W wytycznych UK Best Practice 2022 podkreśla się pozytywny wpływ na wyniki laboratoryjne pacjentów leczonych wysokimi dawkami hydroksokobalaminy drogą pozajelitową, początkowo w dawce 1 mg dziennie domięśniowo.

Dla wcześniej opiniowanych wskazań obecnie nie odnaleziono nowych wytycznych względem zawartych w raporcie z 2021 r.

Dla wskazania neuropatia drobnych włókien nerwowych (spowodowana przewlekłym niedoborem witaminy B12) nie odnaleziono wytycznych klinicznych. W wytycznych polskich (konsensus ekspertów 2023) odniesiono się do ogólnie neuropatii spowodowanej niedoborem wit. B12. Postępowanie w przypadku neuropatii związanych z niedoborem wit. B12 jest spójne z leczeniem innych zaburzeń wywołanych niedoborem wit. B12.

Jednocześnie należy wskazać, że przy opracowywaniu Raportu z 2021 r. nie odnaleziono dowodów dotyczących wszystkich wskazań wymienionych w ówczesnym zleceniu MZ, a odnalezione doniesienia obejmowały jedynie badania obserwacyjne, w których nie wszyscy pacjenci otrzymywali hydroksykobalaminę, a niejednokrotnie stosowano złożone schematy leczenia.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacjami przedstawionymi wraz ze zleceniem MZ preparaty hydroksykobalaminy w 2025 r. sprowadzono łącznie – we wskazaniach, których dotyczy stanowisko – dla 18 pacjentów (z wyjątkiem wskazania: deficyt MTHFR, w którym nie odnotowano wniosków o import docelowy). Wartość refundacji wyniosła ok 31 000 zł, w tym najwyższy udział odnotowano w przypadku zaburzeń metabolizmu kobalaminy (18 682 zł).

Główne argumenty decyzji

Odnalezione wytyczne wskazują na korzyści ze stosowania produktów zawierających hydroksykobalaminę we wnioskowanych wskazaniach oraz zasadność kontynuowania refundacji w ramach importu docelowego.

Z racji rzadkości występowania omawianych zespołów chorobowych refundacja preparatu nie stanowi nadmiernego obciążenia dla płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 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.414.2.2026 „Produkty lecznicze zawierające hydroksykobalaminę we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, zaburzenia metabolizmu kobalaminy, hiperhomocysteinemia związana z zaburzeniami metabolizmu kobalaminy, deficyt kobalaminy C, deficyt reduktazy metylenotetrahydrofolianu (deficyt MTHFR), neuropatia drobnych włókien nerwowych (spowodowana przewlekłym niedoborem witaminy B12)”, data ukończenia: 3 czerwca 2026 r.