



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 86/2026 z dnia 6 lipca 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu
kolejnego neuroblastoma u pacjenta w remisji

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Iwilfin (eflornithine), tabletki, we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności refundacji, w ramach importu docelowego, produktu leczniczego Iwilfin we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4. stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie.

Przedmiotowy wniosek stanowi ponowną prośbę o finansowanie ze środków publicznych produktu leczniczego Iwilfin. Poprzedni wniosek, złożony dla tego samego pacjenta, był opiniowany przez Radę Przejrzystości dnia 3 lutego 2026 r. (SRP nr 18/2026). Wówczas Rada przyjęła stanowisko negatywne, którego głównymi argumentami były: brak wysokiej jakości danych naukowych potwierdzających skuteczność terapii, wątpliwy profil bezpieczeństwa oraz bardzo wysoki koszt terapii.

Do aktualnego wniosku załączono dodatkowo dwie opinie ekspertów (tj. Konsultantów, Krajowego i Wojewódzkiego, w dziedzinie Onkologii i Hematologii Dziecięcej), którzy uważają za zasadne zastosowanie produktu Iwilfin u pacjenta wskazanego we wniosku. Ponadto, przedstawiono dwa opisy historii leczenia przedmiotowego pacjenta. Odnosząc się do powyższego należy podkreślić, że decyzje o finansowaniu technologii medycznej w ramach importu docelowego obowiązują przez 3 lata i obejmują wszystkich pacjentów ze wskazaniem zgodnym z wnioskowanym. W opinii ekspertów (raport nr: OTAD.4211.2.025), liczebność populacji docelowej wynosi około 10 pacjentów rocznie.

Neuroblastoma jest złośliwym nowotworem, który objawia się guzem lub masami guzowatymi w obrębie jamy brzusznej, wokół rdzenia kręgowego,

klatki piersiowej, szyi lub miednicy. Jest to jeden z najczęstszych nowotworów u dzieci (stanowi ok. 5-7% wszystkich nowotworów). W Polsce rozpoznaje się rocznie około 60-70 nowych zachorowań.

Ocenianym wskazaniem jest redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisyj, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie. Jedynym lekiem dla tego wskazania, wymienionym w wytycznych NCCN 2025, jest eflornityna (DFMO). Aktualnie nie są dostępne alternatywne technologie medyczne dla eflornityny w leczeniu podtrzymującym nawrotowego neuroblastoma w remisyj.

Produkt leczniczy Iwilfin (eflornithine) nie jest dopuszczony do obrotu w Polsce. Ponadto, lek ten nie został zarejestrowany przez EMA, która uznała, że nie można wykazać jego skuteczności ze względu na ograniczenia badania klinicznego NMTRC003/NCT02395666, niejasności związane z jego przeprowadzeniem i wynikami. EMA miała też wątpliwości co do jakości i wytwarzania leku.

Dowody naukowe

Dane dotyczące stosowania leku Iwilfin opierają się na wynikach jednego badania pierwotnego NMTRC003 (Oesterheld 2023 i Duke 2024), w którym oceniano skuteczności i bezpieczeństwo leczenia DFMO jako terapii podtrzymującej w neuroblastoma wysokiego ryzyka, względem historycznej grupy kontrolnej. Wykazano IS różnice na korzyść DFMO względem braku terapii (historyczna grupa kontrolna) dla EFS i OS. Stosowanie leku Iwilfin (eflornithine) wiąże się z ryzykiem wystąpienia powikłań, takich jak utrata słuchu, zapalenie ucha środkowego, gorączka, zapalenie płuc oraz biegunka.

Nie odnaleziono nowych wytycznych klinicznych względem opinii z lutego br. Jedynie wytyczne NCCN 2025 uwzględniają ocenianą technologię medyczną. Panel NCCN ds. nerwiaka niedojrzałego sugeruje, aby lekarze omawiali z pacjentami i ich rodzinami eflornitynę jako opcję terapii kontynuacyjnej (zalecenie kategorii 2B). Organizacja SIOPEN popiera stosowanie eflornityny zgodnie z rejestracją FDA oraz w ramach programu szybkiego dostępu (EAP) tam, gdzie jest on dostępny, a równocześnie zobowiązuje się do gromadzenia danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa w ramach badania HR-NBL2.

Ankietowani przez Agencję eksperci nie przedstawili jednoznacznego stanowiska na temat stosowania eflornityny. Zwrócili uwagę, że aktualnie nie są dostępne inne leki możliwe do zastosowania w ocenianym wskazaniu. Jednocześnie podkreślili brak wysokiej jakości dowodów potwierdzających skuteczność eflornityny we wnioskowanej populacji pacjentów oraz bardzo wysokie koszty terapii.

Problem ekonomiczny

Oceniany produkt nie był wcześniej sprowadzany do Polski w ramach importu docelowego. Prognozowane wydatki na finansowanie produktu leczniczego

Iwilfin w ramach importu docelowego wynoszą rocznie dla 1 pacjenta od 0,6 mln PLN do 1,2 mln PLN (w zależności od przyjętego dawkowania).

Podsumowując, od wydania poprzedniej opinii Rady Przejrzystości (3 lutego br.) nie pojawiły się nowe dowody naukowe wskazujące na konieczność zmiany dotychczasowego wnioskowania Rady.

Główne argumenty decyzji:

- *Niskiej jakości dane naukowe nt. skuteczności terapii;*
- *Wątpliwy profil bezpieczeństwa;*
- *Bardzo wysoki koszt terapii.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.414.3.2026 „Iwilfin (eflornithine) we wskazaniu: redukcja ryzyka nawrotu kolejnego neuroblastoma (4 stadium zaawansowania) u pacjenta w remisji, odpowiadającego na wcześniejsze leczenie”; data ukończenia: 1 lipiec 2026 r.