



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 74/2026 z dnia 1 czerwca 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Ogsiveo (nirogacestat) we wskazaniu: leczenie pacjentów
pediatrycznych z postępującymi guzami desmoidalnymi

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Ogsiveo (nirogacestat) we wskazaniu: leczenie pacjentów pediatrycznych z postępującymi guzami desmoidalnymi opornymi na leczenie innych linii i niekwalifikującymi się do leczenia operacyjnego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Ogsiveo (nirogacestat) nie jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej w rozpatrywanym wskazaniu w populacji pediatrycznej. Produkt leczniczy Ogsiveo jest natomiast dopuszczony do obrotu w procedurze centralnej w monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z postępującymi guzami desmoidalnymi, którzy wymagają leczenia ogólnoustrojowego jednak ze względu na niedostępność w krajowym obrocie ma zostać sprowadzony z zagranicy zgodnie z art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2025 r. poz. 750, z późn. zm.). W przedmiotowym wskazaniu dla ww. produktu leczniczego został złożony 1 wniosek o refundację w ramach importu docelowego.

Dowody naukowe

Do badania Takahashi 2020 włączono 4 pacjentów w wieku od 2,5 do 19 lat, w tym 3 pacjentów z rodzinną polipowatością gruczolakowatą (FAP). Lokalizacje guzów obejmowały m.in. ścianę klatki piersiowej, oczodół, jamę brzuszną i szyję. Większość pacjentów wcześniej otrzymywała liczne terapie (sorafenib, chemioterapia, pazopanib, hydroksymocznik, krioterapia). W ramach pracy Brennan 2026 przedstawiono wyniki analizy przekrojowej, obejmującej dane 53 pacjentów pediatrycznymi z DT, leczonych nirogacestatem w ramach programów compassionate use (CAP) w 11 ośrodkach w Europie, USA, Australii, Kanadzie i Nowej Zelandii w okresie 19.02.2019 – 23.04.2025 r. (data cutoff). Najczęstszymi lokalizacjami guzów były kończyny dolne, głowa/szyja oraz krezka/miednica. W wywiadzie stwierdzono mutacje APC (13%). Ponad połowa pacjentów zgłosiła ≥ 2 terapie przed włączeniem do badania CUP. W badaniu

Takahashi 2020 mediana okresu obserwacji wyniosła 13,5 miesiąca (6 - 18 miesięcy). Oceniono odpowiedź radiologiczną guza, odpowiedź kliniczną oraz bezpieczeństwo terapii. U wszystkich 4 pacjentów odnotowano regresję zmian nowotworowych, zahamowanie progresji, poprawę objawów klinicznych (m.in. ból, duszność, możliwość mówienia) - CR (1), SD (2), częściowa PR (1). W ramach Brennan 2026, do momentu odcięcia danych mediana czasu leczenia wyniosła 293 dni. Ponad połowa pacjentów (57%) pacjentów kontynuowało leczenie, 23% zakończyło terapię z powodu braku skuteczności; 2% przerwało leczenie z powodu działań niepożądanych; 19% przerwało leczenie z innych powodów.

Wytyczne ESMO 2021 oraz polskie wytyczne z 2022 r. (PTOK 2022) zostały opublikowane przed datą dopuszczenia do obrotu produktu leczniczego Ogsiveo na terenie UE, nie uwzględniają tym samym nirogacestatu w ścieżce leczenia pacjentów z DT. Substancja czynna nirogacestat jest zalecana w ocenianym wskazaniu wg wytycznych Global Consensus Guidelines z 2024 r. (DTWG 2024, wysoka jakość dowodów według GRADE) i NCCN z 2026 r. (NCCN 2026 v. 3.2026, kat.1). Wytyczne Global Consensus Guidelines zostały wypracowane w ramach konsensusu Grupy Roboczej - Desmoid Tumor Working Group (DTWG 2024). Dokument stanowi kolejną aktualizację wytycznych opracowanych w 2020 r. dla postępowania terapeutycznego w guzach desmoidalnych u pacjentów dorosłych i dzieci. Wdrożenie leczenia systemowego w populacji pediatrycznej uznaje się za zasadne w przypadku progresujących, nie kwalifikujących się do leczenia operacyjnego DT. Aktualizacja konsensusu uwzględnia miejsce inhibitorów γ -sekretazy (w tym nirogacestatu) w algorytmie leczenia guzów desmoidalnych, wskazując nirogacestat jako ważną opcję leczenia systemowego i pierwszy lek z zarejestrowanym wskazaniem w DT. Global Consensus DTWG 2024 podkreśla, że u dzieci i młodzieży z DT leczenie systemowe powinno być rozważane w przypadku choroby progresującej, objawowej, nieresekcyjnej i prowadzone w wyspecjalizowanych ośrodkach referencyjnych. Wytyczne NCCN 2026 określają nirogacestat jako preferowaną opcję leczenia systemowego postępujących guzów desmoidalnych, niekwalifikujących się do leczenia operacyjnego (kat.1).

Problem ekonomiczny

Wydanie pozytywnej decyzji refundacyjnej dla importu docelowego produktu leczniczego Ogsiveo będzie wiązało się z wydatkami płatnika publicznego wynoszącymi od kilkuset tysięcy do kilku milionów złotych rocznie.

Główne argumenty decyzji:

- Niezaspokojona potrzeba kliniczna;
- Zalecenia i wytyczne towarzystw naukowych;
- Niewielka liczba chorych.

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 nr: DWOK.414.2.2026 „Ogsiveo (nirogacestat) we wskazaniu: leczenie pacjentów pediatrycznych z postępującymi guzami desmoidalnymi opornymi na leczenie innych linii i niekwalifikującymi się do leczenia operacyjnego”; data ukończenia: 28 maja 2026 r.