



Opinia Rady Przejrzystości
nr 109/2026 z dnia 28 lipca 2026 roku
w sprawie oceny zmian w treści programu lekowego B.29 „Leczenie
chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie zmian w treści programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił Agencji sporządzenie opinii w zakresie proponowanych zmian programu lekowego B.29 „Leczenie chorych na stwardnienie rozsiane (ICD-10: G35)” w oparciu o przygotowane materiały HTA. W ramach programu B.29 realizowana jest terapia kilku postaci stwardnienia rozsianego. Oceniane przez Radę propozycje obejmują zmiany kryteriów kwalifikacji do leczenia okrelizumabem pacjentów z postacią pierwotnie postępującą stwardnienia rozsianego. Oceniane zmiany obejmują:

- zmianę dolnej granicy punktacji EDSS, aktualnie pacjent musi być w stadium EDSS ≥ 3 ; po zmianie kwalifikacja następowałaby od stadium EDSS 0;*
- zmianę górnej granicy punktacji EDSS, aktualnie pacjent musi być w stadium EDSS $\leq 6,5$, po zmianie terapia mogłaby trwać do wystąpienia stadium EDSS ≤ 7 ;*
- usunięcie administracyjnych zapisów dotyczących czasu trwania PPMS, aktualnie do PL nie mogą być włączani pacjenci, u których od wystąpienia pierwszych objawów minęło > 10 lat (przy EDSS ≤ 5) lub więcej niż 15 lat (przy EDSS > 5).*

Stwardnienie rozsiane jest przewlekłą, zapalno-demielinizacyjną chorobą o podłożu immunologicznym. Odznacza się wieloogniskowym i rozsianym w czasie powstawaniem zmian w ośrodkowym układzie nerwowym, które prowadzą do utraty aksonów. Charakterystyczną patologiczną cechą są okołozylne zmiany zapalne, prowadzące do tworzenia się blaszek demielinizacyjnych. W wyniku zapaleń dochodzi do uszkodzenia oligodendrocytów oraz demielinizacji. We wczesnych stadiach aksony są nienaruszone, zmienia się to wraz z postępem choroby, podczas którego następują nieodwracalne ich uszkodzenia. Choroba rozpoczyna się głównie

u młodych dorosłych pojawieniem się klinicznie izolowanego zespołu objawów neurologicznych o podłożu demielinizacyjnym. Przebieg choroby może być zmienny, jednak systematycznie prowadzi do pogarszania stanu neurologicznego pacjentów i jest najczęstszą nieurazową przyczyną trwałego inwalidztwa u młodych osób. Rzut choroby oznacza pojawienie się nowych lub wyraźne pogłębienie dotychczasowych obiektywnych objawów neurologicznych, które utrzymują się co najmniej 24 godziny, bez współistniejącej gorączki czy infekcji. Epizody napadowe trwające kilka sekund lub minut, które powtarzają się w okresie przekraczającym 24 godziny, mogą być uważane za rzut. Podstawą rozpoznania rzutu jest ocena kliniczna.

Okrelizumab jest aktualnie jedyną substancją finansowaną w ramach przedmiotowego PL u pacjentów z tą postacią choroby.

Wytyczne kliniczne

W wytycznych klinicznych (polskie PTN 2024, brytyjskie ABN 2024, NICE 2019, NICE 2026, Amerykańskie AAN 2024) jedyną rekomendowaną substancją jest okrelizumab. W żadnym z dokumentów nie wskazano dolnej i górnej wartości EDSS, przy której należy rozpoczynać leczenie. W większości z nich wskazano, iż leczenie należy rozpocząć na wczesnym etapie choroby.

Dowody naukowe

Brak jest badań, w których przedstawiono oddzielne wyniki na temat stosowania okrelizumabu u pacjentów z PPMS i EDSS < 3. Dostępne są natomiast publikacje w których wskazano, iż uwzględniona populacja obejmowała m.in pacjentów z EDSS < 3,0.

Najbardziej wiarygodne dane wskazują, że wcześniejsze rozpoczęcie i długotrwała kontynuacja okrelizumabu zmniejszają ryzyko progresji EDSS. Mogą opóźniać osiągnięcie EDSS $\geq 7,0$ oraz wpływać korzystnie na funkcję kończyn górnych i chód. Dodatkowo potwierdzają trwałość efektu leczenia w PPMS, wskazując na utrzymywanie się korzyści w zakresie ograniczenia progresji EDSS, opóźnienia konieczności korzystania z wózka inwalidzkiego oraz wydłużenia odstępu między kolejnymi zdarzeniami progresji.

Dane dotyczące skuteczności okrelizumabu u pacjentów z PPMS rozpoczynających leczenie przy bardzo zaawansowanej niepełnosprawności, tj. EDSS > 6,5, są nadal ograniczone, jednak dostępne wyniki wskazują, że korzyść kliniczna z terapii może obejmować również tę populację. Okrelizumab istotnie zmniejszał ryzyko 12-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji niepełnosprawności względem placebo, a efekt był spójny także dla 24-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji. Szczególnie istotne dla ocenianej populacji jest to, że korzyść z leczenia utrzymywała się również u chorych z EDSS > 6,5. W tej podgrupie odnotowano 49% redukcję ryzyka 12-tygodniowo potwierdzonej złożonej progresji niepełnosprawności, 60% redukcję ryzyka 12-tygodniowo potwierdzonej progresji EDSS oraz 41% redukcję ryzyka 12-

tygodniowo potwierdzonej progresji 9HPT. Wyniki te wskazują, że skuteczność okrelizumabu nie ograniczała się wyłącznie do pacjentów z niższym stopniem niepełnosprawności, lecz obejmowała także chorych przekraczających próg EDSS 6,5. Ma to znaczenie kliniczne, ponieważ u pacjentów z EDSS >6,5 zachowanie funkcji kończyn górnych i opóźnienie dalszej progresji mogą mieć istotne znaczenie dla utrzymania samodzielności. Tym samym dostępne dowody wspierają zasadność rozważenia leczenia okrelizumabem u wybranych pacjentów z PPMS i EDSS >6,5, szczególnie jeśli celem terapii jest spowolnienie dalszej progresji, zachowanie funkcji kończyn górnych i opóźnienie utraty samodzielności.

W odnalezionych wytycznych i badaniach nie odniesiono się do zmian, obejmujących administracyjne ograniczenie czasu rozpoczęcia terapii od momentu diagnozy PPMS u pacjenta.

Problem ekonomiczny

W przypadku uwzględnienia zaproponowanych zmian w treści PL B.29 dla populacji z pierwotnie postępującą postacią stwardnienia rozsianego, wydatki płatnika publicznego wzrosną rocznie o [REDACTED]

Główne argumenty decyzji:

- niezaspokojona potrzeba medyczna;
- wcześniejsze rozpoczęcie i długotrwała kontynuacja okrelizumabu zmniejszają ryzyko progresji EDSS, również przy zaawansowanej niepełnosprawności.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem opracowania nr: OTAD.4121.1.2026 „Opracowanie dotyczące oceny zmian w treści programu lekowego B.29: »LECZENIE CHORYCH NA STWARDNIENIE ROZSIANE (ICD-10: G35)«”; data ukończenia: 23 lipiec 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (Roche Registration GmbH).*

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Roche Registration GmbH) 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) i , art. 35 ust. 4a - 4b 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 z późn. zm.).

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

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Roche Registration GmbH).