

Rekomendacja nr 124/2026

z dnia 31 sierpnia 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny zasadności zakwalifikowania oznaczenia stężenia białka wiążącego insulinopodobny czynnik wzrostu typu 3 jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej

Prezes Agencji rekomenduje zakwalifikowanie oznaczenia stężenia białka wiążącego insulinopodobny czynnik wzrostu typu 3 [IGFBP-3] jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Badanie powinno mieć zastosowanie w populacji pacjentów z niedoborem wzrostu do ukończenia 3. roku życia, w przypadkach, w których wyniki oznaczeń stężenia hormonu wzrostu [GH] oraz insulinopodobnego czynnika wzrostu 1 [IGF-1] nie pozwalają na jednoznaczną ocenę kliniczną.

Oznaczenie stężenia IGFBP-3 stanowi badanie pomocnicze wykorzystywane w diagnostyce i monitorowaniu zaburzeń osi GH-IGF-1. Badanie jest stosowane w praktyce klinicznej oraz finansowane ze środków publicznych w ramach programów lekowych [PL] B.19, B.20 i B.64, jednak wynik oznaczenia IGFBP-3 nie stanowi samodzielnej podstawy rozpoznania zaburzeń wydzielania GH ani samodzielnego kryterium kwalifikacji do leczenia, modyfikacji terapii lub wyłączenia z programu. Aktualny zakres świadczeń gwarantowanych w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej obejmuje zasadnicze elementy diagnostyki zaburzeń osi somatotropowej, w tym ocenę auksologiczną, oznaczenia stężenia GH i IGF-1, hormonalne testy dynamiczne oraz diagnostykę obrazową. Główną przesłanką przemawiającą za pozytywnym rozstrzygnięciem jest fakt, że zgodnie z najnowszymi wytycznymi praktyki klinicznej wartość diagnostyczna oznaczenia IGF-1 u dzieci poniżej 3. roku życia jest ograniczona, natomiast oznaczenie IGFBP-3 cechuje się większą użytecznością diagnostyczną w tej grupie pacjentów.

Uzasadnienie rekomendacji

Problem decyzyjny dotyczy oceny zasadności zakwalifikowania oznaczenia stężenia IGFBP-3 do wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej [AOS]. Oceniane badanie dotyczy głównego białka wiążącego i transportującego IGF-1, którego stężenie może być wykorzystywane jako pomocniczy marker aktywności osi hormonu wzrostu. Oznaczenie IGFBP-3 nie stanowi samodzielnej podstawy rozpoznania niedoboru GH i powinno być interpretowane łącznie z parametrami auksologicznymi, stężeniem IGF-1, wynikami oceny wydzielania GH oraz pozostałymi wynikami diagnostyki różnicowej. Obowiązujący zakres świadczeń gwarantowanych AOS obejmuje kluczowe elementy diagnostyki zaburzeń osi somatotropowej, w tym ocenę auksologiczną, oznaczenia GH i IGF-1, hormonalne testy dynamiczne, diagnostykę obrazową oraz ocenę funkcji pozostałych osi przysadkowych. Oceniane badanie uwzględniono w opisach PL B.19, B.20 i B.64 jako element kwalifikacji oraz monitorowania leczenia, przy czym w żadnym z analizowanych programów wynik tego

oznaczenia nie stanowi samodzielnego kryterium rozpoznania, kwalifikacji, modyfikacji leczenia ani wyłączenia z programu.

Proponowana zmiana nie dotyczy wprowadzenia do systemu nowej technologii diagnostycznej, lecz rozszerzenia możliwości finansowania oznaczenia IGFBP-3 w ramach AOS.

Ze względu na przedmiot oceny nie przeprowadzono pełnej analizy efektywności klinicznej ani analizy ekonomicznej. Ocenę oparto na analizie miejsca oznaczenia IGFBP-3 w postępowaniu diagnostycznym.

Oszacowanie skutków finansowych dla płatnika, przedstawione przez Agencję, wskazuje na koszty rzędu ok. 0,7 mln zł rocznie. Wartości te nie powinny być jednak interpretowane jako jednoznaczny wzrost wydatków płatnika, ze względu na brak możliwości przeprowadzenia wiarygodnej analizy scenariuszowej oraz brak danych pozwalających ocenić potencjalne przełożenie kwalifikacji na zmiany ryczałtów diagnostycznych PL.

Analiza rozwiązań organizacyjnych w wybranych państwach nie pozwoliła jednoznacznie potwierdzić powszechnego finansowania oznaczenia IGFBP-3 w ramach publicznie finansowanej diagnostyki laboratoryjnej albo systemów rozliczeń obejmujących świadczenia ambulatoryjne i szpitalne. W przypadku Belgii odnaleziono bezpośredni dowód braku refundacji oznaczenia IGFBP-3.

Prezes Agencji, uwzględniając całokształt dostępnych dowodów i przedstawionych przesłanek, stanowisko Rady Przejrzystości oraz miejsce ocenianego badania w procesie diagnostycznym, uznaje za zasadne zakwalifikowanie przedmiotowego badania diagnostycznego jako odrębnego świadczenia gwarantowanego. Nie wykazano, aby brak oznaczenia IGFBP-3 w katalogu badań dostępnych w AOS uniemożliwiał przeprowadzenie właściwej diagnostyki zaburzeń wzrastania lub kwalifikację pacjenta do dalszego postępowania specjalistycznego. Zidentyfikowano jednak, że istnieje specyficzna populacja, która w największym stopniu może odnieść szczególną korzyść z dostępu do tego badania. W dokumencie Międzynarodowego Konsorcjum Wytycznych w Zakresie Genetyki Wzrostu z 2026 r. sformułowano zalecenie, zgodnie z którym wartość diagnostyczna IGF-1 jest ograniczona w porównaniu z IGFBP-3 u dzieci <3. roku życia. Obniżenie poziomu IGFBP-3 może występować w niedoborze lub zaburzeniach wydzielania hormonu wzrostu, przy czym marker ten jest mniej czuły niż IGF-1 u dzieci >3. roku życia. W związku z tym, pozytywna rekomendacja dotyczy ograniczonego zakresu populacji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy m.in. oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia pn. „oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, na podstawie art. 31c ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 1461, z późn. zm.). W zleceniu zwrócono się również z prośbą o opracowanie wyceny analizowanego świadczenia.

Zlecenie jest powiązane z rezultatami prac nad projektem pn. „Odwrócona Piramida Świadczeń” oraz opracowaniem Agencji o sygnaturze WS.422.10.2025 z 18 czerwca 2025 r. Należy jednak podkreślić, że uprzednio wydana opinia dotyczyła zaopiniowania wykazu propozycji nowych świadczeń w zakresie diagnostyki i leczenia chorób układu dokrewnego w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, zgłoszonych przez ekspertów. Wówczas potwierdzono zasadność podjęcia dalszych prac analitycznych w zakresie kwalifikacji świadczeń, dla których odnaleziono wytyczne praktyki klinicznej zawierające zalecenia lub rekomendacje, opatrzone siłą rekomendacji i poziomem jakości dowodów, potwierdzające zasadność ich stosowania.

Problem zdrowotny

Zaburzenia wzrastania u dzieci i młodzieży obejmują szeroką grupę schorzeń i stanów prowadzących do nieprawidłowego tempa wzrostu oraz osiągnięcia wzrostu końcowego odbiegającego od potencjału genetycznego dziecka. Ich przyczyną mogą być czynniki środowiskowe i żywieniowe, choroby przewlekłe, zaburzenia hormonalne, choroby genetyczne oraz wrodzone nieprawidłowości rozwojowe. W praktyce klinicznej istotne znaczenie ma funkcjonowanie osi GH-IGF-1, która od wczesnego dzieciństwa uczestniczy w regulacji procesów wzrastania. Niedobór wzrostu może stanowić jeden z pierwszych objawów chorób endokrynologicznych, metabolicznych lub genetycznych. Nierozpoznane lub nieleczone

zaburzenia wzrastania mogą prowadzić m.in. do trwałego obniżenia wzrostu końcowego oraz negatywnych konsekwencji zdrowotnych i psychospołecznych, wpływających na jakość życia w wieku dorosłym.

Na podstawie danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ wskazuje się, że ze świadczeń w PL B.19, B.20 i B.64 w latach 2012–I poł. 2026 skorzystało łącznie 20 235 pacjentów, spośród których refundowaną terapię wdrożono u 18 571 pacjentów. W ostatnim w pełni sprawozdanym roku, tj. 2025 r. liczba nowych pacjentów kwalifikowanych do analizowanych PL wyniosła 1 841 pacjentów, a świadczenia były udzielane u 9 065 pacjentów.

Alternatywna technologia medyczna

Diagnostyka zaburzeń wzrastania u dzieci wymaga kompleksowej oceny tempa wzrastania, parametrów antropometrycznych, potencjału genetycznego oraz wyników badań laboratoryjnych, hormonalnych, obrazowych i genetycznych, dobieranych stosownie do sytuacji klinicznej pacjenta. Zakres świadczeń gwarantowanych AOS obejmuje podstawowe elementy tej diagnostyki, w tym ocenę aukuologiczną, oznaczenia GH i IGF-1, hormonalne testy dynamiczne, diagnostykę obrazową oraz ocenę pozostałych osi przysadkowych.

W obowiązującym stanie formalno-prawnym oznaczanie IGFBP-3 zostało uwzględnione w opisach trzech programów lekowych określonych w załącznikach do obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dotyczy to badań diagnostycznych wymaganych przy kwalifikacji do leczenia lub stosowanych w monitorowaniu jego skuteczności, w szczególności u niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki (B.19); niskorosłych dzieci z ciężkim pierwotnym niedoborem IGF-1 (B.20) oraz niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w stosunku do wieku ciążowego (B.64).

Z tego względu nie wskazuje się odrębnej technologii alternatywnej rozumianej jako metoda diagnostyczna zastępująca oceniane świadczenie. Oznaczenie IGFBP-3 należy traktować jako element uzupełniający kompleksową diagnostykę zaburzeń wzrastania, interpretowany łącznie z pozostałymi danymi klinicznymi i laboratoryjnymi.

Opis wnioskowanego świadczenia

Wnioskowane świadczenie dotyczy oznaczenia stężenia IGFBP-3, wykorzystywanego w diagnostyce zaburzeń wzrastania u dzieci i młodzieży. IGFBP-3 jest głównym białkiem wiążącym IGF-1 i IGF-2, syntetyzowanym przede wszystkim w wątrobie pod wpływem działania GH. Ocena stężenia IGFBP-3 może być stosowana w diagnostyce różnicowej niskorosłości i opóźnienia wzrastania, w szczególności jako uzupełnienie oznaczenia IGF-1 oraz oceny wydzielania GH. Parametr ten może wspierać interpretację obrazu klinicznego i wyników badań laboratoryjnych, przy czym nie zastępuje kompleksowej diagnostyki różnicowej przyczyn zaburzeń wzrastania.

Populację docelową stanowią dzieci i młodzież z zaburzeniami wzrastania wymagającymi diagnostyki endokrynologicznej, obejmującymi w szczególności niedobór hormonu wzrostu, niskorosłość o różnej etiologii, opóźnienie rozwoju fizycznego oraz wybrane zespoły genetyczne związane z nieprawidłowym wzrastaniem, w tym zespół Turnera i zespół Pradera-Williego.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Należy wskazać, że przedmiotowa kwalifikacja nie dotyczy nowej technologii medycznej, lecz zmiany o charakterze organizacyjnym. Z tego względu odstąpiono od pełnej oceny skuteczności i bezpieczeństwa.

Przeprowadzono uzupełniający przegląd systematyczny najnowszych doniesień naukowych z lat 2015–2026. Odnaleziono trzy publikacje: dwa retrospektywne badania obserwacyjne oraz jeden przegląd systematyczny. Dostępne dowody wskazują, że stężenie IGFBP-3 zwiększa się w trakcie leczenia hormonem wzrostu, jednak nie wykazano jednoznacznego związku pomiędzy zmianą jego stężenia a odpowiedzią wzrostową pacjenta. Ponadto wartość diagnostyczna oznaczenia IGFBP-3 w rozpoznawaniu niedoboru hormonu wzrostu jest ograniczona, a dostępne dane wskazują na umiarkowaną swoistość przy niskiej czułości badania. W związku z tym oznaczenie IGFBP-3 nie może stanowić samodzielnej podstawy

potwierdzania ani wykluczania niedoboru hormonu wzrostu i może być wykorzystywane jedynie jako badanie uzupełniające w ramach kompleksowej diagnostyki zaburzeń wzrastania.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Należy wskazać, że przedmiotowa kwalifikacja nie dotyczy nowej technologii medycznej, lecz zmiany o charakterze organizacyjnym. Z tego względu odstąpiono od pełnej oceny ekonomicznej.

Wycena ocenianej interwencji względem aktualnych uwarunkowań finansowania diagnostyki zaburzeń wzrastania:

- ryczałty diagnostyczne w PL, w opisie których występuje IGFBP-3: diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki – 1 rok terapii; diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki – 2. i kolejny rok terapii; diagnostyka w programie leczenia niskorosłych dzieci z ciężkim pierwotnym niedoborem IGF-1; diagnostyka w programie leczenia hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA lub IUGR); taryfy w zakresie 658–3 169 pkt, po przeliczeniu 1 277–6 148 zł zgodnie z aktualną średnią 1,94 zł/pkt;
- procedura O32 pn. „Somatomedyna C (IGF-1)” została ujęta w liście podstawowej W1, może być rozliczana w ramach W12, W13, W41, W42, W43, W62, W63, W64 oraz PPW2; taryfa w zakresie 30-195 pkt; 56-363 zł zgodnie z aktualną średnią 1,86 zł/pkt.
- Przeprowadzona wycena, oparta na wewnętrznych cennikach świadczeniodawców, wskazuje na koszt jednostkowy w wysokości 111 zł.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Oszacowanie wpływu na budżet przeprowadzono w trzyletnim horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego. Nie przeprowadzono analizy scenariuszowej ze względu na obecny model finansowania oznaczenia, w którym badanie stanowi element ryczałtu diagnostycznego w PL. Analizę oparto na danych sprawozdawczo-rozliczeniowych NFZ dotyczących pacjentów, u których sprawozdano procedurę O32 Somatomedyna C (IGF-1) na poziomie AOS. Uwzględniono dwa warianty wyznaczania liczebności populacji: pierwszy, oparty na połowie średniej liczby pacjentów z lat 2020–2025, u których sprawozdano O32, oraz drugi, maksymalny, oparty na opinii ekspertów. Przyjęto, że w wariancie minimalnym badanie wykonuje się dwukrotnie w ciągu roku u 80% populacji wariantu podstawowego, a w wariancie podstawowym trzykrotnie.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na:

- 1 913 (min: 1 530; max: 10 500) pacjentów w I roku po wdrożeniu;
- 2 105 (1 684; 11 500) pacjentów w II roku;
- 2 297 (1 837; 12 500) pacjentów w III roku.

Oszacowane koszty płatnika związane z wykonaniem oznaczenia IGFBP-3 wyniosłyby odpowiednio:

- 0,64 (min: 0,34; max: 2,33) mln zł w I roku;
- 0,70 (0,37; 2,55) mln zł w II roku;
- 0,74 (0,41; 2,78) mln zł w III roku.

Ograniczenia oceny wpływu na budżet

Ograniczeniem oceny wpływu na budżet jest brak klasycznej analizy scenariuszowej, rozumianej jako porównanie kosztów w wariancie istniejącym i nowym. W konsekwencji nie jest możliwe jednoznaczne oszacowanie, o ile wzrosłyby wydatki płatnika publicznego względem stanu aktualnego. Dodatkową niepewność stanowi wykorzystanie danych dla oznaczenia IGF-1, co może prowadzić do przeszacowania liczby pacjentów, u których wykonano by oceniane oznaczenie.

Opinia NFZ

W opinii NFZ wskazano, że prognozowana w KŚOZ liczba badań na poziomie 500–1 000 rocznie jest znacząco zaniżona. Podkreślono, że badanie IGFBP-3 jest zazwyczaj wykonywane łącznie z oznaczeniem IGF-1, a dane sprawozdawcze NFZ za 2025 r. wykazały wykonanie 17 943 badań IGF-1 u 11 599 pacjentów. Na tej podstawie oszacowano, że przy cenie jednostkowej 74–200 zł roczny skutek finansowy wyniósłby co najmniej 1 299 588–3 512 400 zł.

Opinie ekspertów klinicznych

Przeanalizowano trzy opinie przekazane przez ekspertów. Wszystkie opinie miały spójny kierunek i wskazywały na zasadność finansowania oznaczenia IGFBP-3 w ramach AOS jako elementu diagnostyki i monitorowania zaburzeń osi GH-IGF-1. Eksperci podkreślali przede wszystkim uzupełniającą rolę badania, możliwość jego wykorzystania w różnicowaniu przyczyn niskorostości oraz monitorowaniu leczenia hormonem wzrostu. Wskazywano również na możliwość prowadzenia części diagnostyki w warunkach ambulatoryjnych oraz poprawę ciągłości opieki nad pacjentami pozostającymi pod kontrolą poradni specjalistycznych.

Jednocześnie eksperci zwracali uwagę na ograniczenia i potencjalne ryzyka związane ze stosowaniem badania. Wskazano na konieczność interpretacji wyników łącznie z obrazem klinicznym oraz innymi parametrami, w szczególności stężeniem IGF-1, a także na potrzebę uwzględniania norm zależnych od wieku i płci. Podnoszono również problem braku pełnej standaryzacji metod oznaczania pomiędzy laboratoriami oraz ryzyko nadmiernego zlecenia badania po ewentualnym włączeniu go do wykazu świadczeń gwarantowanych. Ponadto dwóch ekspertów wskazało na możliwość wzrostu kosztów diagnostyki i monitorowania leczenia związanych z szerszą dostępnością oznaczenia IGFBP-3.

Uwagi do opisu świadczenia

Nie zgłasza się uwag.

Omówienie rekomendacji klinicznych w odniesieniu do ocenianej technologii

Analiza odnalezionych sześciu dokumentów wytycznych praktyki klinicznej wskazuje, że oznaczenie IGFBP-3 nie stanowi rutynowego ani obligatoryjnego elementu diagnostyki zaburzeń wzrastania ani monitorowania leczenia hormonem wzrostu. W większości dokumentów podstawową rolę przypisuje się oznaczeniu stężenia IGF-1, natomiast IGFBP-3 jest wskazywany jako badanie uzupełniające, szczególnie w wybranych sytuacjach klinicznych, takich jak diagnostyka niskorostości u dzieci poniżej 3. roku życia, interpretacja niskich stężeń IGF-1, podejrzenie zaburzeń osi GH-IGF-1 lub diagnostyka ciężkiego pierwotnego niedoboru IGF-1. Wytyczne nie identyfikują IGFBP-3 jako warunku rozpoczęcia leczenia hormonem wzrostu, jednak część dokumentów wskazuje na możliwość jego wykonania na etapie pogłębionej diagnostyki przed wdrożeniem leczenia. Jednocześnie w wybranych jednostkach chorobowych, takich jak zespół Silvera-Russella, rekomendowane jest okresowe oznaczanie IGFBP-3 podczas monitorowania terapii GH, natomiast w większości wskazań monitorowanie leczenia opiera się przede wszystkim na oznaczeniach IGF-1.

Analiza rozwiązań organizacyjnych w ośmiu krajach lub regionach wskazuje, że w części analizowanych państw oznaczenie IGFBP-3 zostało włączone do publicznie finansowanych katalogów świadczeń ambulatoryjnych lub laboratoryjnych (m.in. Niemcy, Włochy, Szwajcaria). W innych krajach dostępne jest w systemie publicznym, jednak zakres i zasady jego finansowania pozostają niejednoznaczne (Wielka Brytania, Czechy, Chorwacja, USA). Odmiennie sytuacja przedstawia się w Belgii, gdzie nie odnaleziono dowodów na refundację badania w ramach publicznego systemu ubezpieczenia zdrowotnego.

PREZES

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 15 maja 2026 r. (znak: ASG.72.2.2026.EM) w sprawie m.in. oceny zasadności zakwalifikowania świadczenia pn. „oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1”, jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, na podstawie art. 31c ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U z 2025 r. poz. 1461 z późn. zm.) po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 118/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1” jako świadczenia gwarantowanego.
2. Raport nr DMiOŚZ.4100.4.2026 „Oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1; Ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej”, data ukończenia: 19 sierpnia 2026 r.