



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 132/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Opzelura (ruksolitynib) we wskazaniu: bielactwo nabyte

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Opzelura (ruksolitynib), krem 15 mg/g, we wskazaniu: bielactwo nabyte.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsza opinia dotyczy wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego leku Opzelura (ruksolitynib), krem 15 mg/g, we wskazaniu: bielactwo nabyte.

Ruksolitynib to miejscowy inhibitor kinaz JAK (JAK1 i JAK2), stosowany w terapii repigmentacyjnej. Lek zarejestrowany jest do stosowania w leczeniu niesegmentowego bielactwa z zajęciem twarzy u dorosłych i młodzieży od dwunastego roku życia.

Dowody naukowe

Dostępne publikacje naukowe przedstawiają skuteczność ruksolitynibu w kremie u pacjentów z bielactwem uczestniczących w badaniach rejestracyjnych TRuE-V1 i TRuE-V2, obejmują odpowiednio wyniki z fazy otwartej, fazy przedłużonej oraz długoterminowe wyniki badania przedłużonego z leczeniem do maksymalnie 156 tygodni. Badania te wskazują że ruksolitynib zwiększa repigmentację i zmniejsza widoczność plam w bielactwie w porównaniu z placebo, a efekty leczenia zwiększają się wraz z czasem leczenia. Objawy niepożądane związane z leczeniem mają najczęściej charakter łagodny, w obrębie miejsca aplikacji. Brak jest badań bezpośrednio porównujących skuteczność ruksolitynibu z innymi przyjętymi metodami terapeutycznymi (w tym fototerapią i chemofototerapią).

Problem ekonomiczny

Oszacowanie kosztów leczenia jest znacznie utrudnione z uwagi na bardzo zindywidualizowane zużycie kremu, wynikające z powierzchni zmian skórnych, tempa i stopnia odpowiedzi na leczenie oraz ew. konieczności i czasu trwania leczenia podtrzymującego. Trudna jest także do oszacowania liczba pacjentów z bielactwem w Polsce i odsetek pacjentów którzy mogliby zostać objęci wnioskowanym leczeniem.

Przyjmując maksymalne zużycie leku na podstawie ChPL, koszt dla jednego pacjenta wyniósłby 108 tys. PLN.

Główne argumenty decyzji:

- *Brak badań udowadniających przewagę wnioskowanej terapii nad innymi przyjętymi metodami terapeutycznymi;*
- *Brak różnicy istotnej klinicznie na poprawę jakości życia;*
- *Potencjalnie bardzo wysokie koszty dla płatnika publicznego;*
- *Bardzo duża niepewność co do liczebności populacji.*

Uwaga Rady:

Rozwiązaniem systemowym, mogącym poprawić dostępność pacjentów z bielactwem nabytym do wnioskowanej terapii, jest objęcie ruksolitynibu finansowaniem w ramach programu lekowego, ze ściśle określonymi kryteriami kwalifikacji do leczenia oraz zasadami monitorowania leczenia.

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: DWOK.414.6.2026 „Opzelura (ruksolitynib) we wskazaniu: bielactwo nabyte”, data ukończenia: 3 września 2026 r.