



Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
Wydział Oceny Technologii Medycznych

**Opracowanie dotyczące oceny zasadności zmiany
kategorii dostępności refundacyjnej substancji
czynnej *pazopanibum***

**Przeniesienie z programu lekowego B.10.
„Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)”
do katalogu leków
refundowanych w chemioterapii**

OT.422.0.30.2025

Data ukończenia: 26 czerwca 2025 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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 2022r., 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), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (nie dotyczy).

Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (nie dotyczy).

Dane zakreślone **kolorem szarym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorców (nie dotyczy).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (nie dotyczy) 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 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (nie dotyczy).

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

Zakres wyłączenia jawności: dane osobowe.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z rozporządzeniem Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (ogólne rozporządzenie o ochronie danych) (Dz. U. UE.L. z 2016 r.119).

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

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: osoba fizyczna.

Wykaz skrótów

Agencja, AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BC	analiza podstawowa (ang. base case)
BIP	Biuletyn Informacji Publicznej
CHB	cena hurtowa brutto
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
C / CHT	chemioterapia
CZN	cena zbytu netto
DGL	Departament Gospodarki Lekami
ECOG	Eastern Cooperative Oncology Group
ESMO	European Society for Medical Oncology
ICD-10	Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych – wersja 10 (ang. International Statistical Classification Of Diseases and Related Health Problems – 10th revision)
Lek	produkt leczniczy w rozumieniu ustawy z dnia 6 września 2011 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2024 r. poz. 686)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NCCN	National Comprehensive Cancer Network
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
OS	przeżycie całkowite (ang. overall survival)
PFS	przeżycie wolne od progresji (ang. progression-free survival)
PO	poziom odpłatności
PTOK	Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej
Technologia	technologia medyczna w rozumieniu art. 5 pkt 42 b ustawy o świadczeniach lub środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego lub wyrób medyczny w rozumieniu art. 2 pkt 21 i 28 ustawy o refundacji
UCZ	urzędowa cena zbytu
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)
Ustawa o świadczeniach	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146)
WLF	wysokość limitu finansowania

Spis treści

1. Podstawowe informacje o zleceniu	5
2. Przedmiot i historia zlecenia	6
2.1. Korespondencja w sprawie	6
3. Wytyczne praktyki klinicznej	7
4. Zestawienie proponowanych zmian z zapisami PL	10
5. Analiza wpływu na budżet	14
5.1. Aktualne wydatki	14
5.2. Analiza wpływu na budżet w przypadku zmiany kat. refundacyjnej.....	16
5.2.1. Dane wejściowe	16
5.3. Wyniki	18
5.3.1. Analiza podstawowa	18
5.3.2. Analiza wrażliwości	18
5.4. Ograniczenia	19
6. Podsumowanie	20
7. Źródła	21
8. Załączniki	22
8.1. Załącznik 1	22

1. Podstawowe informacje o zleceniu

Data wpłynięcia zlecenia do AOTMiT (DD.MM.RRRR)
i znak pisma zlecającego

10.03.2025
PLR2.4503.2.2.2025.KK

Pełna nazwa świadczenia opieki zdrowotnej (z pisma zlecającego):

Przygotowanie materiałów analitycznych, dotyczących przeniesienia substancji czynnej pazopanibu z programu lekowego:

- B.10. „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)”

do katalogu leków refundowanych w chemioterapii na podstawie projektu załącznika przekazanego w załączeniu oraz na ich podstawie wydanie opinii Rady Przejrzystości w przedmiotowym zakresie.

Typ zlecenia: art. 31 n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej (Dz. U. z 2024 r., poz. 146)
– realizacja innych zadań zleconych przez ministra właściwego do spraw zdrowia

- ☒ *zlecenie Ministra Zdrowia złożone z urzędu*
- ☐ *zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej*
- ☐ *zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia będącego zgodnie z postanowieniami statutu towarzystwem naukowym o zasięgu krajowym – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej*
- ☐ *zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia*
- ☐ *zlecenie Ministra Zdrowia na wniosek stowarzyszenia lub fundacji, których celem statutowym jest ochrona praw pacjenta – za pośrednictwem konsultanta krajowego z dziedziny medycyny odpowiedniej dla danego świadczenia opieki zdrowotnej*

2. Przedmiot i historia zlecenia

2.1. Korespondencja w sprawie

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r., o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) pismem znak PLR2.4503.2.2.2025.KK z dnia 09.03.2025 r. (data wpływu do AOTMiT 10.03.2025 r.), Minister Zdrowia zlecił AOTMiT przygotowanie materiałów analitycznych, opinii Rady Przejrzystości w przeniesienia substancji czynnej pazopanibu z programu lekowego „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

W załączeniu przekazano propozycję nowego załącznika dla katalogu chemioterapii (w tabeli poniżej).

Treść proponowanych załączników dla katalogu chemioterapii:

Załącznik C.10X.

PAZOPANIB

- nowotwór w stadium zaawansowanym,
- korzystne lub pośrednie rokowanie wg IMDC,
- niestosowanie wcześniejszego leczenia systemowego z powodu zaawansowanego raka nerki (nie dotyczy chorych z nietolerancją sunitynibu albo sorafenibu),
- uprzednie usunięcie guza pierwotnego lub odstępianie od nefrektomii potwierdzone na podstawie udokumentowanej decyzji konsylium multidyscyplinarnego.

Leczenie trwa do czasu wystąpienia progresji nowotworu (za wyjątkiem oligoprogresji – zgodnie z definicją w załączniku B.10.) lub działań niepożądanych uniemożliwiających jego kontynuowanie.

W przypadku nietolerancji leczenia pazopanibem możliwa jest, w uzasadnionych przypadkach, zmiana terapii na inny lek z grupy inhibitorów kinaz tyrozynowych stosowany w katalogu chemioterapii w tym wskazaniu (sorafenib, sunitynib) lub odwrotnie tj. innego leku na pazopanib, przy czym taka zmiana nie zmienia linii leczenia. Progresja choroby w trakcie pierwotnie wdrożonego leczenia uniemożliwia taką procedurę.

Tabela 1. Propozycja nowego załącznika dla katalogu chemioterapii – nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej

Lp.	Nazwa substancji czynnej oraz, jeżeli dotyczy, droga podania	KOD ICD-10	Nazwa ICD-10
1.	PAZOPANIB	C64	NOWOTWÓR ZŁOŚLIWY NERKI Z WYJĄTKIEM MIEDNICZKI NERKOWEJ

3. Wytyczne praktyki klinicznej

Przeszukano następujące źródła w celu odnalezienia wytycznych praktyki klinicznej:

- Polskie Towarzystwo Onkologii Klinicznej (PTOK; <https://ptok.pl/>);
- European Society for Medical Oncology (ESMO; <https://www.esmo.org/>);
- National Comprehensive Cancer Network (NCCN; <https://www.nccn.org/>);
- bazę danych medycznych PubMed;
- <https://www.tripdatabase.com/>.

Wyszukiwanie przeprowadzono w dniu 28.05.2025 r. W ramach wyszukiwania odnaleziono dwa dokumenty: NCCN 2025 oraz ESMO 2024 dotyczące leczenia nowotworu złośliwego nerki.

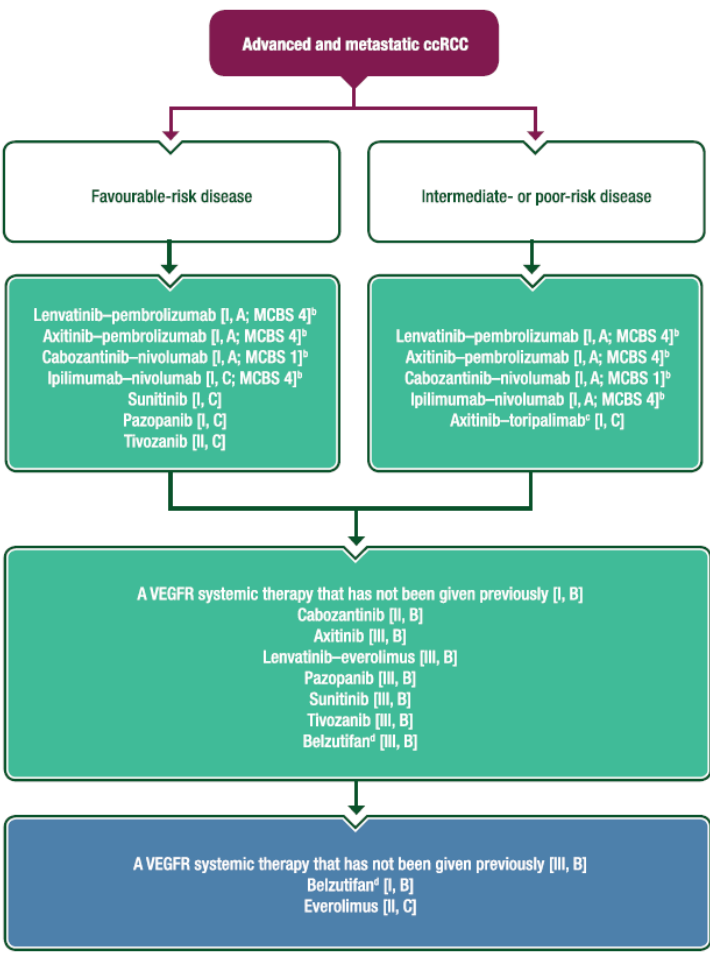
W ramach najnowszego dokumentu wytycznych leczenia nowotworu złośliwego (NCCN 2025) pazopanib jest wymieniany jako preferowana opcja leczenia I linii zarówno w leczeniu pośredniego jak i korzystnego ryzyka.

W ramach wytycznych ESMO 2024 pazopanib w leczeniu nowotworu złośliwego nerki wymieniany jest jako potencjalna alternatywa leczenia I linii w leczeniu choroby o korzystnym ryzyku.

Najważniejsze informacje zawarte w odnalezionych wytycznych przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 2. Przegląd interwencji wg wytycznych praktyki klinicznej

Organizacja, rok (kraj/region)	Rekomendowane interwencje
NCCN 2025	Opcje terapii systemowej pierwszego rzutu dla pacjentów z jasnokomórkowym rakiem nerki (ccRCC) - Aksytynib-pembrolizumab [1], kabozantynib-niwolumab [1], lenwatynib-pembrolizumab [1] jest preferowany w leczeniu pierwszego rzutu dla pacjentów z ccRCC we wszystkich grupach ryzyka. - Ipilimumab-niwolumab jest preferowany w leczeniu pierwszego rzutu dla pacjentów z ccRCC o niskim i pośrednim ryzyku [1] oraz zalecany dla pacjentów z ccRCC o korzystnym ryzyku [2A]. - Kabozantynib jest preferowaną opcją jako leczenie pierwszego rzutu dla pacjentów z ccRCC o niskim i pośrednim ryzyku [2A] oraz zalecany dla pacjentów z ccRCC o korzystnym ryzyku [2B]. - Aksytynib-awelumab [2A], Pazopanib [2A], sunitynib [2A] są wskazywane jako inne zalecane terapie pierwszego rzutu dla pacjentów z ccRCC we wszystkich grupach ryzyka, a kabozantynib [2b] - dla pacjentów z ccRCC o korzystnym ryzyku. - Temsirolimus jest alternatywnym leczeniem pacjentów z ccRCC o niskim i pośrednim ryzyku [3]. - Alternatywnym podejściem jest obserwacja wybranych, bezobjawowych pacjentów z ccRCC z korzystnym ryzykiem [2A]. - Sorafenib nie jest zalecany w leczeniu pacjentów z ccRCC. W przypadku niejasnokomórkowego raka nerki (nccRCC) Wytyczne NCCN nie wymieniają pazopanibu. <u>Kategorie dowodów:</u> 1 – oparte na dowodach wysokiej jakości, jednolity konsensus NCCN, że technologia jest właściwa; 2A – oparte na dowodach niższej jakości, jednolity konsensus NCCN, że technologia jest właściwa; 2B – oparte na dowodach niższej jakości, konsensus NCCN, że technologia jest właściwa; 3 – oparte na jakichkolwiek dowodach, poważne rozbieżności NCCN dotyczące tego, że technologia jest właściwa.
ESMO 2024	Leczenie pierwszego rzutu w zaawansowanym i przerzutowym raku nerkowokomórkowym (ccRCC). - Lenwatynib-pembrolizumab [I, A], aksytynib-pembrolizumab [I, A] lub kabozantynib-niwolumab [I, A] jest zalecany w leczeniu pierwszego rzutu zaawansowanego ccRCC, niezależnie od grupy ryzyka IMDC. Nie ma preferowanego skojarzenia inhibitorów PD-1 i VEGFR TKI, nie zaleca się pośrednich porównań między badaniami. - Ipilimumab-niwolumab jest zalecany jako leczenie pierwszego rzutu w przypadku choroby o pośrednim i niekorzystnym ryzyku według skali IMDC [I, A] i stanowi opcję w przypadku choroby o korzystnym ryzyku [I, C]. - Akitynib-toripalimab jest opcją dla pacjentów z chorobą o pośrednim lub niekorzystnym ryzyku [I, C]. - Sunitynib [I, C], pazopanib [I, C] i tivozanib [II, C] są potencjalnymi alternatywami dla terapii skojarzonej ukierunkowanej na PD-1 w przypadku choroby o korzystnym ryzyku IMDC ze względu na brak wyraźnej przewagi terapii skojarzonej ukierunkowanej na PD-1 nad sunitynibem. - Sunitynib [I, A], pazopanib [I, A] i tivozanib [II, B] są potencjalnymi alternatywami dla kombinacji leków pierwszego rzutu ukierunkowanych na PD-1, gdy terapia ICI jest przeciwwskazana lub niedostępna. Kabozantynib jest również alternatywą w przypadku choroby o pośrednim i niekorzystnym ryzyku według IMDC u pacjentów, którzy nie mogą otrzymać terapii pierwszego rzutu ukierunkowanej na PD-1 [II, A]. - Aksytynib-awelumab nie wiąże korzyści w zakresie OS w porównaniu z sunitynibem i dlatego nie jest zalecany w monoterapii VEGFR TKI [I, D].

Organizacja, rok (kraj/region)	Rekomendowane interwencje
	• Obserwacja jest alternatywnym podejściem w przypadku niewielkiej, nieokreślonej podgrupy pacjentów z chorobą o korzystnym ryzyku [III, C]. Podejście to wymaga dokładnego rozważenia. • Po 2 latach należy rozważyć zaprzestanie stosowania leków ICI [IV, B]. Przerwy w leczeniu VEGFR TKI nie wydają się mieć żadnego negatywnego wpływu na skuteczność terapii.  Rysunek 1. Leczenie systemowe zaawansowanego i przerzutowego jasnokomórkowego raka nerkowokomórkowego (ccRCC). Leczenie systemowe zaawansowanego i przerzutowego raka nerki niebędącego rakiem jasnokomórkowym ani brodawkowatym. • Zaleca się udział w badaniach klinicznych [IV, A]. • W przypadku zaawansowanego chromofobowego RCC można stosować sunitynib [II, C], pazopanib [IV, C], lenwatinib–ewerolimus [II, C], ewerolimus [II, C] oraz lenwatinib–pembrolizumab [III, C]. • W przypadku raka przewodów zbiorczych i RCC z niedoborem SMARCB1 zaleca się chemioterapię opartą na cisplatynie [III, C]. Alternatywnymi opcjami są sunitynib [V, C], pazopanib [V, C] i kabozantinib [III, C]. • Terapie oparte na ICI, w tym ipilimumab–niwolumab [III, A], aksytynib–pembrolizumab [III, A], kabozantinib–niwolumab [III, A] i lenwatinib–pembrolizumab [III, A], są preferowane w przypadku zaawansowanego RCC o histologii sarkomatoidalnej (dominującej). Sunitynib [II, B] i pazopanib [V, C] są alternatywnymi opcjami dla pacjentów z przeciwwskazaniami do terapii opartej na ICI. • Bewacyzumab–erlotynib może być stosowany w zaawansowanym RCC z niedoborem FH [III, B].

Organizacja, rok (kraj/region)	Rekomendowane interwencje
	Advanced and metastatic non-clear-cell and non-papillary RCC Clinical trial if available [IV, A] Chromophobe Sunitinib [II, C] Pazopanib [IV, C] Lenvatinib–everolimus* [II, C] Everolimus* [II, C] Lenvatinib–pembrolizumab [III, C] Collecting duct and medullary Cisplatin-based ChT regimen [III, C] Sunitinib [IV, C] Pazopanib [V, C] Cabozantinib [III, C] Sarcomatoid (predominant) Ipilimumab–nivolumab [III, A] Axitinib–pembrolizumab [III, A] Cabozantinib–nivolumab [III, A] Lenvatinib–pembrolizumab [III, A] Sunitinib [II, B] Pazopanib [IV, C] Rysunek 2. Systemowe leczenie zaawansowanego i przerzutowego raka nerki niebędącego rakiem jasnokomórkowym ani brodawkowatym. <u>Poziom dowodów naukowych:</u> • I Dowody pochodzą z co najmniej jednego, dużego, randomizowanego badania klinicznego z grupą kontrolną dobrej jakości (niskie ryzyko błędu) lub meta-analiz dobrze przeprowadzonych badań randomizowanych bez heterogeniczności • II Małe badania randomizowane lub duże randomizowane badania z ryzykiem błędu (niższa jakość metodologiczna) lub meta-analiza z takich badań lub badania z udowodnioną heterogenicznością. • III Badania kohortowe prospektywne <u>Kategorie rekomendacji:</u> • A Silne dowody na skuteczność z istotną poprawą kliniczną, mocno rekomendowana interwencja. • B Silne lub umiarkowane dowody na skuteczność, ale z ograniczoną korzyścią kliniczną, ogólnie zalecane. • C Niewystarczające dowody na skuteczność lub korzyści nie przewyższają ryzyka lub strat (zdarzenia niepożądane, koszty,...), rekomendacja opcjonalna.

4. Zestawienie proponowanych zmian z zapisami PL

W tabeli poniżej zestawiono wybrane zapisy programu lekowego z PL B.10 „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” z zaproponowanymi zapisami katalogu chemioterapii.

Tabela 3. Zapisy programu lekowego „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” oraz zaproponowane zapisy katalogu chemioterapii

Kategoria	Zapisy PL B 10	Treść proponowanego załącznika dla katalogu chemioterapii	Komentarz analityków AOTMiT
Wskazanie do stosowania	W ramach programu lekowego pacjentom z rakiem nerki udostępnia się terapie: 1) pembrolizumab, 2) pazopanib, 3) kabozantynib, 4) niwolumab, 5) niwolumab w skojarzeniu z ipilimumabem, 6) kabozantynib w skojarzeniu z niwolumabem zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.	Nowotwór złośliwy nerki z wyjątkiem miedniczki nerkowej	Zgodnie z ChPL Votrient w zakresie leczenia raka nerkowokomórkowego wskazania do leczenia pazopanibem obejmują: leczenie pierwszego rzutu <u>u dorosłych</u> pacjentów z zaawansowanym RCC oraz u pacjentów, którzy wcześniej otrzymywali cytokiny w związku z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym.
Kryteria kwalifikacji	1. Kryteria kwalifikacji Muszą zostać spełnione łącznie kryteria ogólne (1.1.) oraz kryteria szczegółowe (1.2.) dla poszczególnych substancji czynnych. 1.1. Ogólne kryteria kwalifikacji 1) histologicznie potwierdzone rozpoznanie: a) raka nerkowokomórkowego z wyłączeniem raka z kanalików zbiorczych - w przypadku kabozantynibu, pazopanibu, b) raka nerkowokomórkowego z komponentem raka jasnokomórkowego lub sarkomatycznym - w przypadku niwolumabu z ipilimumabem, c) raka nerkowokomórkowego z komponentem raka jasnokomórkowego - w przypadku kabozantynibu z niwolumabem; 2) nowotwór w stadium zaawansowanym bez możliwości radykalnego leczenia miejscowego; 3) brak wcześniejszego leczenia farmakologicznego zaawansowanego raka nerki – w przypadku pazopanibu możliwa wcześniejsza immunoterapia z wykorzystaniem cytokin; 4) stan sprawności według skali Karnofsky'ego 70-100; 5) ukończony 18. rok życia; 6) uprzednie usunięcie guza pierwotnego lub odstępnie	• nowotwór w stadium zaawansowanym, • korzystne lub pośrednie rokowanie wg IMDC, • niestosowanie wcześniejszego leczenia systemowego z powodu zaawansowanego raka nerki (nie dotyczy chorych z nietolerancją sunitynibu albo sorafenibu), • uprzednie usunięcie guza pierwotnego lub odstępnie od nefrektomii potwierdzone na podstawie udokumentowanej decyzji konsylium multidyscyplinarnego.	Zgodnie z ChPL Votrient w zakresie leczenia raka nerkowokomórkowego wskazania do leczenia pazopanibem obejmują: leczenie pierwszego rzutu <u>u dorosłych</u> pacjentów z zaawansowanym RCC oraz u pacjentów, którzy wcześniej otrzymywali cytokiny w związku z zaawansowanym rakiem nerkowokomórkowym. Ten zapis kwalifikuje pacjentów z zaawansowanym RCC: • którzy nie byli wcześniej leczeni (pierwszy rzut), • lub byli wcześniej leczeni cytokinami. W porównaniu do obowiązującego PL B.10. zapisy w proponowanym załączniku do katalogu chemioterapii nie zawierają ograniczeń dotyczących wieku pacjentów kwalifikowanych do leczenia, a zgodnie z informacjami zawartymi w ChPL: • pazopanib wskazany jest do stosowania w leczeniu dorosłych; • nie należy stosować u dzieci w wieku poniżej 2 lat ze względów bezpieczeństwa związanych z wzrostem i dojrzewaniem narządów (patrz punkty 4.4 i 5.3 ChPL). • nie określono bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności pazopanibu u dzieci i młodzieży w wieku od 2 do 18 lat. Należy zaznaczyć, że do maja 2023 w programie lekowym B.10 nie było wcześniej wśród kryteriów kwalifikacji do leczenia inhibitorami kinaz

	od nefrektomii potwierdzone udokumentowaną decyzją konsylium multidyscyplinarnego; 7) zmiany możliwe do obiektywnej oceny w badaniach obrazowych (wg aktualnej wersji RECIST); 8) nieobecność aktywnych przerzutów w ośrodkowym układzie nerwowym (dopuszczalne wcześniejsze wycięcie przerzutów lub stereotaktyczna radioterapia, o ile po leczeniu utrzymuje się stan bezobjawowy); 9) w przypadku współistnienia innych aktywnych nowotworów kwalifikacja do leczenia musi uwzględniać rokowanie związane ze współistniejącym nowotworem; 10) nieobecność istotnych schorzeń współistniejących lub stanów klinicznych stanowiących przeciwwskazanie do rozpoczęcia terapii w oparciu o aktualną ChPL; 11) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL; 12) wykluczenie ciąży i okresu karmienia piersią; 13) zgoda pacjenta na zapobieganie ciąży zgodnie z aktualną ChPL stosowanych leków. 1.2. Szczegółowe kryteria kwalifikacji do terapii 1.2.1. pazopanibem 1) korzystne lub pośrednie rokowanie według skali International Metastatic Renal Cell Carcinoma Database Consortium (dalej IMDC).	tyrozynowych (pazopanib, sunitynib, sorafenib) w pierwszej linii leczenia wskazanego kryterium wieku „ukończony 18. rok życia”. Proponowany zapis katalogu chemioterapii nie zawiera również kryterium związanego ze stanem sprawności według skali Karnofsky'ego 70-100 zawartym w kryteriach kwalifikacji PL B.10. Należy zwrócić uwagę, że zapisy proponowanego załącznika dla pazopanibu są analogiczne do tych obowiązujących dla funkcjonujących już od maja 2023 roku w ramach katalogu chemioterapii: sunitynibu (załącznik C.88.c) oraz sorafenibu (załącznik C.89.c.), należących jak pazopanib do inhibitorów kinazy tyrozynowej. Ze względu na szczegółowe kryteria kwalifikacji uwzględnione w programie lekowym B.10.¹ dla sorafenibu, przy przeniesieniu ww. substancji czynnej do katalogu chemioterapii w załączniku przeniesiono również zapis kryterium „udokumentowane niepowodzenie leczenia cytokinami (nie dotyczy chorych z nietolerancją sunitynibu lub pazopanibu)”. W przypadku proponowanego zapisu dla pazopanibu nie uwzględniono zapisu dopuszczającego do leczenia pazopanibem pacjentów, u których zastosowano wcześniej immunoterapię z wykorzystaniem cytokin. Choć zastosowanie pazopanibu u takich pacjentów jest zgodne z ChPL, należy jednak zauważyć, że wśród rekomendowanych terapii leczenia zaawansowanego raka nerki przywoływane wytyczne kliniczne nie wymieniają leków z grupy cytokin.
Kryteria wyłączenia	Kryteria wyłączenia z programu 1) udokumentowana progresja według aktualnych kryteriów RECIST (w przypadku niwolumabu z ipilimumabem z możliwością potwierdzenia progresji w kolejnym badaniu po upływie 4-8 tygodni); 2) w przypadku oligoprogresji (progresja nie więcej niż 5 ognisk w nie więcej niż 3 narządach, w tym w ośrodkowym układzie nerwowym), dopuszcza się kontynuację leczenia pod warunkiem zastosowania radykalnego leczenia	Leczenie trwa do czasu wystąpienia progresji nowotworu (za wyjątkiem oligoprogresji – zgodnie z definicją w załączniku B.10.) lub działań niepożądanych uniemożliwiających jego kontynuowanie. W przypadku nietolerancji leczenia pazopanibem możliwa jest, w uzasadnionych przypadkach, zmiana terapii na inny lek z grupy inhibitorów kinaz tyrozynowych stosowany w katalogu chemioterapii w tym wskazaniu (sorafenib, sunitynib) lub odwrotnie tj. innego leku na pazopanib, przy czym taka zmiana nie zmienia linii leczenia. Progresja W ramach katalogu chemioterapii wskazano ograniczenia dotyczące czasu trwania leczenia (do wystąpienia progresji choroby) oraz dotyczące postępowania w przypadku nietolerancji leczenia. Na podstawie ChPL jako kryteria wyłączenia do leczenia pazopanibem, można wskazać 1. Ciężkie zaburzenia czynności wątroby – Przeciwwskazanie bezwzględne: stosowanie pazopanibu jest przeciwwskazane u pacjentów z ciężkimi zaburzeniami czynności wątroby (punkt 4.3 ChPL).

¹ [Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 lutego 2023 r. w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 marca 2023 r.](#)

	miejscowego (chirurgia, radioterapia stereotaktyczna) tych ognisk, o ile pacjent odnosi korzyści kliniczne i utrzymuje się odpowiedź lub stabilizacja pozostałych zmian chorobowych; 3) wystąpienie objawów nadwrażliwości na którąkolwiek substancję czynną lub substancję pomocniczą; 4) ciąża lub okres karmienia piersią; 5) wystąpienie zagrażającej życiu toksyczności lub istotnej klinicznie toksyczności niższego stopnia, która nawraca pomimo zastosowania adekwatnego postępowania, zgodnie z zasadami zawartymi w aktualnej ChPL lub w aktualnych zaleceniach Towarzystw Onkologicznych; 6) utrzymujące się istotne pogorszenie stanu sprawności ogólnej lub jakości życia uniemożliwiające kontynuację leczenia; 7) wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii lekarza prowadzącego uniemożliwiają prowadzenie leczenia; 8) w przypadku nietolerancji pazopanibu możliwa jest w uzasadnionych przypadkach zmiana terapii na inny inhibitor wielokinazowy o działaniu antyangiogennym (finansowany w katalogu chemioterapii), przy czym taka zmiana nie zmienia linii leczenia. Progresja choroby w trakcie pierwotnie wdrożonego leczenia (z uwzględnieniem pkt. 2) uniemożliwia taką procedurę; 9) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy.	choroby w trakcie pierwotnie wdrożonego leczenia uniemożliwia taką procedurę.	2. Znaczne nadciśnienie tętnicze niekontrolowane pomimo leczenia – Jeżeli ciśnienie nie może być skutecznie wyrównane, konieczne jest odstawienie leku. Kryterium wykluczające ze względu na bezpieczeństwo terapii. 3. Przebyty w ciągu ostatnich 6 miesięcy: – krwotok z przewodu pokarmowego, – krwiooplucie, – krwotok do mózgu Wysokie ryzyko ponownego krwawienia, pazopanib niezalecany (punkt 4.4). 4. Istotne zaburzenia rytmu serca lub wydłużenie odstępu QT – Szczególna ostrożność lub wykluczenie, zwłaszcza przy równoczesnym stosowaniu leków wydłużających QT (punkt 4.4 ChPL). 5. Duże ryzyko perforacji lub przetoki przewodu pokarmowego – Ze względu na zgłaszane przypadki tych zdarzeń, należy zachować ostrożność; może być to kryterium wykluczenia w przypadku aktywnej choroby zapalnej jelit lub po niedawnych operacjach (punkt 4.4 ChPL). 6. Niewyrównana niedoczynność tarczycy – Przed włączeniem terapii należy wyrównać czynność tarczycy (punkt 4.4). 7. Ciąża i karmienie piersią – Stosowanie przeciwwskazane; pazopanib działa embriotoksycznie i może być szkodliwy dla dziecka karmionego piersią (punkt 4.6). 8. Jednoczesne stosowanie silnych inhibitorów CYP3A4 / P-gp / BCRP – Takie połączenia mogą znacząco zwiększyć ekspozycję na lek; zalecane unikanie – w praktyce może to być kryterium wykluczające przy braku alternatywy terapeutycznej (punkt 4.5 ChPL).
Dawkowanie	Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualnymi Charakterystykami Produktu Leczniczego (dalej ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną. Dopuszczalne jest zmniejszenie dawek leków zgodnie z aktualną ChPL.	Brak informacji.	Zgodnie z ChPL Votrient zalecana dawka pazopanibu w leczeniu dorosłych z RCC wynosi 800 mg na dobę. W zależności indywidualnej tolerancji leczenia, w celu opanowania działań niepożądanych, dawkę należy dostosować (zmniejszyć lub zwiększyć), zmniejszając lub zwiększając ją stopniowo, za każdym razem o 200 mg. Dawka pazopanibu nie powinna być większa niż 800 mg. W odniesieniu do dzieci zgodnie z ChPL pazopanibu nie należy stosować u dzieci w wieku poniżej 2 lat ze względów bezpieczeństwa związanych z wzrostem i dojrzewaniem narządów. Nie określono

			bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności pazopanibu u dzieci i młodzieży w wieku od 2 do 18 lat. Aktualne dane przedstawiono w punktach 4.8, 5.1 i 5.2 ChPL, ale nie ma zaleceń dotyczących dawkowania.
--	--	--	---

Zapisy w ramach proponowanego załącznika chemioterapii nie zawierają ograniczeń dotyczących wieku pacjentów kwalifikowanych do leczenia.

Zgodnie z informacjami przedstawionymi w ChPL Votrient pazopanibu nie należy stosować u dzieci w wieku poniżej 2 lat ze względów bezpieczeństwa związanych z wzrostem i dojrzewaniem narządów. Nie określono bezpieczeństwa stosowania ani skuteczności pazopanibu u dzieci i młodzieży w wieku od 2 do 18 lat. Aktualne dane przedstawiono w punktach 4.8, 5.1 i 5.2 ChPL, ale nie ma zaleceń dotyczących dawkowania.

Profil bezpieczeństwa stosowania u dzieci i młodzieży był podobny do profilu bezpieczeństwa zgłaszanego dla pazopanibu u osób dorosłych w zatwierdzonych wskazaniach, na podstawie danych pochodzących od 44 dzieci i młodzieży uczestniczących w badaniu I fazy ADVL0815 oraz 57 dzieci i młodzieży uczestniczących w badaniu II fazy PZP034X2203.

Badanie I fazy (ADVL0815) z pazopanibem przeprowadzono u 44 dzieci i młodzieży z różnymi nawrotowymi lub opornymi na leczenie guzami litymi. Głównym celem było określenie maksymalnej tolerowanej dawki (MTD), profilu bezpieczeństwa i właściwości farmakokinetycznych pazopanibu. Mediana czasu trwania ekspozycji na lek w tym badaniu wyniosła 3 miesiące (1-23 miesiące).

Badanie II fazy (PZP034X2203) z pazopanibem przeprowadzono z udziałem 57 dzieci i młodzieży z opornymi na leczenie guzami litymi, w tym mięśniakomięsakiem prądkowatokomórkowym (N=12), mięsakiem tkanek miękkich innym niż mięśniakomięsak prądkowatokomórkowy (N=11), mięsakiem Ewinga/pPNET (N=10), mięsakiem kościopochodnym (N=10), nerwiakiem zarodkowym (N=8) i wątrobiakiem zarodkowym (N=6). Badanie to było badaniem otwartym z zastosowaniem jednego leku, bez grupy kontrolnej w celu określenia terapeutycznego działania pazopanibu u dzieci i młodzieży w wieku od 1 do <18 lat. Pazopanib podawano codziennie w postaci tabletek w dawce 450 mg/m² pc./dawkę lub w postaci zawiesiny doustnej w dawce 225 mg/m² pc./dawkę. Maksymalna dozwolona dawka dobową wynosiła 800 mg w przypadku tabletek i 400 mg w przypadku zawiesiny doustnej. Mediana czasu trwania ekspozycji na lek wyniosła 1,8 miesiąca (1 dzień-29 miesięcy).

Wyniki tego badania nie wykazały żadnej znaczącej aktywności przeciwnowotworowej w badanej populacji dzieci i młodzieży. Z tego względu pazopanib nie jest zalecany do leczenia tych guzów w populacji dzieci i młodzieży (stosowanie u dzieci i młodzieży, patrz punkt 4.2 ChPL).

Europejska Agencja Leków (EMA) uchyla obowiązek dołączania wyników badań produktu leczniczego Votrient we wszystkich podgrupach populacji dzieci i młodzieży w leczeniu raka nerki i raka miedniczki nerkowej (z wyłączeniem nerczaka płodowego, nefroblastomatozy, mięsaka z jasnych komórek, mezoblastyczny nerczak wrodzony, raka rdzeniastego nerki i guza rabdoidalnego nerek) (patrz punkt 4.2 - informacje o stosowaniu u dzieci i młodzieży ChPL)

W części ChPL dotyczącej farmakokinetyki (5.2. ChPL) po podaniu pazopanibu w dawce 225 mg/m² pc. (w postaci zawiesiny doustnej) dzieciom i młodzieży parametry farmakokinetyczne (C_{max}, T_{max} i AUC) były podobne do parametrów farmakokinetycznych zgłaszanych wcześniej u dorosłych pacjentów leczonych 800 mg pazopanibu. Wyniki wskazywały na brak znacznej różnicy w klirensie pazopanibu między dziećmi a osobami dorosłymi, po dokonaniu normalizacji uwzględniającej powierzchnię ciała pacjentów.

5. Analiza wpływu na budżet

5.1. Aktualne wydatki

W tabeli poniżej przedstawiono wydatki poniesione w latach 2013-2024 w programie lekowym B.10 w podziale na zakres oraz świadczenia.

Tabela 4. Wydatki w PL B.10 wg produktu jednostkowego (w latach 2013-2024)

Świadczenie	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
SUNITINIBUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	44 960 624	61 719 118	60 954 037	63 399 321	62 961 732	59 479 541	60 406 881	62 819 603	64 853 129	64 055 024	38 426 306	3 778 837	---	---
HOSPITALIZACJA ZWIĄZANA Z WYKONANIEM PROGRAMU	216 798	590 445	586 737	592 497	672 285	916 161	867 578	1 002 168	681 904	677 658	1 494 060	1 976 356	1 980 319	302 604
DIAGNOSTYKA W PROGRAMIE LECZENIA RAKA NERKI	661 891	1 416 859	1 618 036	1 912 494	1 987 766	2 077 539	3 056 225	4 451 468	4 405 346	4 467 811	---	---	---	---
PRZYJĘCIE PACJENTA W TRYBIE AMBULATORYJNYM ZWIĄZANE Z WYKONANIEM PROGRAMU	365 153	843 159	1 090 356	1 252 526	1 412 870	1 374 581	1 551 002	1 700 549	1 536 449	1 475 697	2 052 239	2 206 413	2 301 197	314 645
HOSPITALIZACJA W TRYBIE JEDNODNIOWYM ZWIĄZANA Z WYKONANIEM PROGRAMU	225 768	631 413	756 027	560 043	392 195	1 131 772	1 577 844	2 710 544	3 225 203	3 534 444	4 903 642	8 311 098	12 121 328	2 033 061
EVEROLIMUSUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	16 539 607	32 524 887	33 786 219	27 582 049	26 056 899	22 339 430	15 762 469	4 717 675	1 603 484	874 547	917 234	298 617	---	---
SORAFENIBUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	3 589 232	7 807 296	6 661 516	4 972 130	5 326 273	4 661 766	3 238 650	2 381 826	1 750 529	983 028	181 446	21 665	---	---
PAZOPANIBUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	---	6 846 159	19 471 179	20 003 118	25 086 149	28 168 367	31 487 405	32 942 762	32 725 029	30 474 071	29 367 124	26 269 347	23 123 293	3 002 345
AXITINIBUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	---	---	3 535 810	11 523 675	14 413 186	17 323 187	17 201 338	13 170 144	7 383 780	5 752 701	4 212 217	3 286 373	2 774 052	---
TEMSIROLIMUS - P - POZAJELITOWO (PARENTERAL) - 1 MG	---	---	---	---	17 812	723 929	1 256 698	---	---	---	---	---	---	---
CABOZANTINIBUM - O - DOUSTNIE (ORAL, PER MOUTH) - 1 MG	---	---	---	---	---	---	8 004 285	27 395 113	31 559 912	24 588 503	47 268 384	82 269 033	104 081 068	12 463 078

NIWOLUMABUM - P - POZAJELITOWO (PARENTERAL) - 1 MG	---	---	---	---	---	---	6 825 682	33 275 662	48 057 006	57 678 500	80 506 651	140 632 237	170 780 425	24 530 773
TEMSIROLIMUSUM - P - POZAJELITOWO (PARENTERAL) - 1 MG	---	---	---	---	---	---	---	1 609 303	1 596 731	1 530 184	882 650	277 118	111 635	---
DIAGNOSTYKA W PROGRAMIE LECZENIA PACJENTÓW Z RAKIEM NERKI	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	6 402 178	7 943 589	9 318 975	1 279 053
IPILIMUMABUM - P - POZAJELITOWO (PARENTERAL) - 1 MG	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	8 680 087	13 459 769	7 797 638	886 962
PEMBROLIZUMABUM - P - POZAJELITOWO (PARENTERAL) - 1 MG	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	---	3 682 897	62 497 366	10 515 139

5.2. Analiza wpływu na budżet w przypadku zmiany kat. refundacyjnej

Cel

Celem analizy wpływu na budżet było oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku zmiany kategorii dostępności refundacyjnej produktów leczniczych zawierających pazopanib

Perspektywa

Analiza została przeprowadzona z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

Horyzont czasowy analizy

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy.

Scenariusze porównywane

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której pazopanib refundowany jest w ramach programu lekowego B.10 Scenariusz nowy zakłada refundację pazopanib w ramach katalogu chemioterapii. Wpływ na budżet płatnika wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

Analiza wrażliwości

Przeprowadzono deterministyczną analizę wrażliwości. Testowano alternatywne założenia dotyczące szacunków populacji oraz danych wejściowych.

Model

Model wpływu na budżet przygotowano z wykorzystaniem R (wersja 4.5.0.).

5.2.1. Dane wejściowe

Populacja

Populacja obejmuje pacjentów spełniających następujące kryteria:

- zaawansowany rak nerki,
- korzystne lub pośrednie rokowanie według klasyfikacji IMDC,
- brak wcześniejszego leczenia systemowego z powodu zaawansowanego raka nerki (z wyjątkiem pacjentów, u których przerwano leczenie sunitynibem lub sorafenibem z powodu nietolerancji),
- uprzednie usunięcie guza pierwotnego lub odstępnie od nefrektomii na podstawie udokumentowanej decyzji wielodyscyplinarnego konsylium.

Wartość wyjściową do oszacowania wielkości populacji określono na podstawie liczby pacjentów leczonych pazopanibem w ramach programu lekowego B.10 (tj. świadczenie sprawozdane jako 5.08.09.0000075) w latach 2013–2024. Do analizy zastosowano zgeneralizowany model liniowy z rozkładem zmiennej objaśnianej Gaussa i tożsamościową funkcją wiążącą.

Zgodnie z danymi NFZ spośród pacjentów, u których zrealizowano świadczenia z rozpoznaniem C64 (wraz z podkodami) tylko 1,3% pacjentów było poniżej 18 roku życia. W związku powyższym zważywszy na istniejącą już niepewność związaną z oszacowanymi odstępiono od uwzględniania tej wartości.

Tabela 5. Liczba pacjentów leczonych pazopanibem (2013–2024 – dane rzeczywiste, 2025–2027 – prognozy)

Populacja												Predykcja (95% CI)		
2013	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2026	2027
225	433	448	548	622	702	729	718	677	608	545	510	705 (526 - 883)	726 (526 - 927)	748 (526 - 971)

Koszty

Uwzględniono następujące kategorie kosztowe:

- koszty leków (pazopanib),
- koszty podania,
- koszty diagnostyki i monitorowania.

Koszty leku

Kosz leków przyjęto zgodnie ze średnią ceną rozliczoną w 2025 roku.

Tabela 6. Koszt pazopanibu

Substancja	Dawka (roczna, mg)	Cena (1 mg)
Pazopanibum	91 200	0,33

Koszty podania

W populacji A Koszty podania w scenariuszu istniejącym przyjęto jako koszty wykonania świadczeń:

- 5.08.07.0000004

W scenariuszu nowym koszty podania leku przyjęto jako:

- 5.08.05.0000173

Tabela 7. Koszty podania uwzględnione w analizie

Scenariusz	Parametr	Koszt
Istniejący	5.08.07.0000004	108,16
Nowy	5.08.05.0000173	181,00

Koszty diagnostyki i monitorowania

W scenariuszu istniejącym koszt monitorowania przyjęto jako koszt wykonania świadczenia 5.08.08.0000020 ważony medianą odsetka realizacji w programie lekowym B.10 w latach 2013-2024. W scenariuszu nowym koszt dla każdej interwencji koszt monitorowania przyjęto jako koszt wykonania świadczenia 5.08.05.0000008 raz na dwa miesiące.

Tabela 8. Koszty monitorowania terapii uwzględnione w analizie

Scenariusz	Parametr	Wartość
Istniejący	5.08.08.0000016	0,5 n/rok
Nowy	5.08.05.0000008	6 n/rok

5.3. Wyniki

5.3.1. Analiza podstawowa

Tabela 9. Wielkość populacji docelowej

2026	2027
726 (526 - 927)	748 (526 - 971)

Tabela 10. Wyniki analizy podstawowej [zł]

Rok	Koszt leku	Koszty pozostałe	Koszty łączne
Istniejący			
1	22 370 464	1 162 371	23 532 836
2	23 047 425	1 197 546	24 244 971
Nowy			
1	22 742 511	1 179 485	23 921 996
2	23 430 730	1 215 178	24 645 907
Inkrementalny			
1	372 047	17 113	389 160
2	383 305	17 631	400 937

5.3.2. Analiza wrażliwości

Tabela 11. Zestawienie parametrów scenariuszowej analizy wrażliwości

Scenariusz	Parametr	Wartość w analizie podstawowej	Wartość testowana
MIN	Wielkość populacji	Wartość predykcji na 2026/2027	Dolny zakres przedziału ufności dla predykcji na 2026/2027
MAX	Wielkość populacji	Wartość predykcji na 2026/2027	Górny zakres przedziału ufności dla predykcji na 2026/2027
SA1	Monitorowanie terapii w scenariuszu nowym	Koszt realizacji świadczenia 5.08.05.0000008 raz na dwa miesiące	Koszt realizacji świadczenia 5.08.05.0000008 raz na miesiąc

Tabela 12. Wyniki scenariuszowej analizy wrażliwości [zł]

Rok	Koszty leku	Koszty pozostałe	Koszty łączne
BC - Inkrementalne			
1	372 046	17 113	389 160
2	383 305	17 631	400 936
MIN – Inkrementalne			
1	269 695	12 405	282 100
2	269 183	12 381	281 565
MAX – Inkrementalne			
1	474 397	21 821	496 219

Rok	Koszty leku	Koszty pozostałe	Koszty łączne
2	496 915	22 857	519 772
SA1 – Inkrementalne			
1	372 046	33 296	405 343
2	383 305	34 304	417 609

5.4. Ograniczenia

Ograniczenia analizy wpływu na budżet:

- Prognozy dotyczące populacji na lata 2026–2027 zostały opracowane na podstawie danych z relatywnie krótkiego okresu obserwacyjnego, obejmującego lata 2017–2024, co może wpływać na ich dokładność i wiarygodność.
- W analizie nie uwzględniono zmienności dawkowania, liczby wizyt ambulatoryjnych, ani hospitalizacji. Zużycie zasobów oraz liczba świadczeń zostały oszacowane na podstawie mediany realizacji programu lekowego B.10 w latach 2013–2024. W ramach niniejszej analizy nie przeprowadzono testowania alternatywnych scenariuszy w analizie wrażliwości.

6. Podsumowanie

Przedmiot zlecenia

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r., o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146) pismem znak PLR2.4503.2.2.2025.KK z dnia 09.03.2025 r. (data wpływu do AOTMiT 10.03.2025 r.), Minister Zdrowia zlecił AOTMiT przygotowanie materiałów analitycznych, opinii Rady Przejrzystości w przeniesienia substancji czynnej pazopanibu z programu lekowego „Leczenie pacjentów z rakiem nerki (ICD-10: C64)” do katalogu leków refundowanych w chemioterapii.

Wytyczne praktyki klinicznej

Wyszukiwanie przeprowadzone 28 maja 2025 r doprowadziło do odnalezienia dwóch aktualnych dokumentów – wytycznych NCCN 2025 oraz ESMO 2024 dotyczących leczenia zaawansowanego nowotworu złośliwego nerki. Zgodnie z zaleceniami NCCN 2025 jako preferowane terapie pierwszego rzutu wskazywane były terapie skojarzone. Pazopanib wskazywany był podobnie jak sunitynib, jako inna rekomendowana opcja w leczeniu pierwszej linii u pacjentów z zaawansowanym jasnokomórkowym rakiem nerki z korzystnym i pośrednim rokowaniem. Wytyczne ESMO 2024 wskazują pazopanib i sunitynib jako możliwe alternatywy w leczeniu pierwszej linii zaawansowanego raka jasnokomórkowego o korzystnym rokowaniu dla kombinacji leków pierwszego rzutu ukierunkowanych na PD-1, gdy immunochemioterapia jest przeciwwskazana lub niedostępna.

Wpływ na wydatki płatnika publicznego

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym, obejmującym lata 2026-2027.

Przeniesienie pazopanibu z programu lekowego B.10 do katalogu chemioterapii może wiązać się ze wzrostem wydatków płatnika o 389 tys. zł w pierwszym i 400 tys. zł w drugim roku horyzontu. Zakres oszacowań w przeprowadzonej analizie wrażliwości wyniósł od 282 tys. zł do 496 tys. zł oraz 282 tys. PLN do 417 tys. zł w drugim roku horyzontu.

7. Źródła

Publikacje	
ChPL Votrient	https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/votrient-epar-product-information_pl.pdf
NCCN 2025	NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology (NCCN Guidelines®) Kidney Cancer Version 3.2025 — January 9, 2025
ESMO 2024	T. Powles ¹ , L. Albiges ² , A. Bex ^{3,4,5} , E. Comperat ⁶ , V. Grünwald ⁷ , R. Kanesvaran ⁸ , H. Kitamura ⁹ , R. McKay ¹⁰ , C. Porta ^{11,12} , G. Procopio ¹³ , M. Schmidinger ¹⁴ , C. Suarez ¹⁵ , J. Teoh ¹⁶ , G. de Velasco ¹⁷ , M. Young ^{1,18} & S. Gillessen ^{19,20} , on behalf of the ESMO Guidelines Committee. Renal cell carcinoma: ESMO Clinical Practice Guideline for diagnosis, treatment and follow-up. Available online 22 May 2024. doi: https://doi.org/10.1016/j.annonc.2024.05.537

8. Załączniki

8.1. Załącznik 1

Tabela 13. Technologie medyczne zawierające substancję czynną pazopanib refundowane¹ w ramach programu lekowego B.10

Nazwa, postać i dawka leku	Opak.	GTIN	UCZ [zł]	CHB [zł]	WLF [zł]
1110.0, Pazopanib					
Votrient, tabl. powł., 200 mg	30 szt.	05909990764877	2235,60	2369,74	2369,74
Votrient, tabl. powł., 200 mg	90 szt.	05909990764884	6706,80	7109,21	7109,21
Votrient, tabl. powł., 400 mg	30 szt.	05909990764891	4471,20	4739,47	4739,47
Votrient, tabl. powł., 400 mg	60 szt.	05909990764907	8942,40	9478,94	9478,94

CHB – cena hurtowa brutto; UCZ – urzędowa cena zbytu; WLF – wysokość limitu finansowania

¹ Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2025 r.; <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-17-czerwca-2025-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-lipca-2025-r>