



DOR.001.33.2026.MKZ

**Protokół z posiedzenia
Rady Przejrzystości 35/2026
w dniu 24 sierpnia 2026 roku
w formie wideokonferencji**

Małgorzata Bała otworzyła posiedzenie o godzinie 09:58.

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni przy rozpoczęciu posiedzenia (kworum 7 osób):

1. Artur Bachta
2. Małgorzata Bała
3. Małgorzata Dziedziak
4. Paweł Grzesiewski
5. Marcin Kołakowski
6. Marcin Lipowski
7. Ewa Obuchowicz
8. Anna Socha-Banasiak
9. Małgorzata Sznitowska
10. Aleksandra Zasada

Proponowany porządek obrad:

1. Omówienie powiązań branżowych i ustalenie ewentualnych konfliktów interesów członków Rady. Omówienie i przyjęcie porządku obrad Rady.
2. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Oznaczenie IGFBP3 – białko wiążące IGF-1 jako świadczenia gwarantowanego.
3. Przygotowanie stanowiska w sprawie zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej Oznaczenie osmolalności moczu jako świadczenia gwarantowanego.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej Oznaczenie przeciwciał przeciwko gliadynie (ICD-9 N81; N83).
5. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Triplixam (perindoprilum argininum + indapamidum + amlodipinum) we wskazaniu: leczenie substytucyjne nadciśnienia tętniczego samoistnego, u pacjentów, u których uzyskano kontrolę ciśnienia podczas stosowania peryndoprylu i indapamidu w produkcie złożonym oraz amlodypiny w oddzielnym preparacie, w takich samych dawkach jak w produkcie leczniczym Triplixam.
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Tibsovo (ivosidenibum) w ramach programu lekowego B.5. „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego

(ICD-10: C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)".

7. Przygotowanie stanowiska w sprawie zbadania zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Lyfnua we wskazaniu: przewlekły kaszel w przypadku nieskuteczności i/lub nietolerancji dostępnych na polskim rynku alternatywnych technologii lekowych.
8. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Prażmów na lata 2027-2029”.
9. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Brochów na lata 2026-2029”.
10. Przygotowanie opinii o projekcie programu polityki zdrowotnej jednostki samorządu terytorialnego „Program polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z powiatu leszczyńskiego 2027-2029”.
11. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej pemetreksed we wskazaniu pozarejestacyjnym: w skojarzeniu z karboplatiną u chorych na radiojodoopornego raka zróżnicowanego tarczycy w stadium zaawansowanym po wyczerpaniu możliwości leczenia inhibitorami kinaz tyrozynowych.
12. Przygotowanie opinii w sprawie substancji czynnej toksyna botulinowa typu A (produkt leczniczy Xeomin) we wskazaniu pozarejestacyjnym: dystonia krtaniowa oraz dystonia twarzy.
13. Zakończenie posiedzenia.

Ad 1. Żaden z członków Rady nie zadeklarował konfliktu interesów.

Rada 10 głosami „za” zaakceptowała proponowany porządek obrad.

Ad 2. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. kwalifikacji świadczenia Oznaczenie IGFBP3 – białko wiążące IGF-1.

Głos zabrały Aleksandra Zasada i Anna Socha-Banasiak.

Projekt stanowiska Rady przygotowały i przedstawiły Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Dziedziak.

Małgorzata Dziedziak i Anna Socha-Banasiak doprecyzowały treść uchwały, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 1 do protokołu).

Ad 3. Analityk Agencji przedstawił prezentację dot. kwalifikacji świadczenia Oznaczenie osmolalności moczu.

We wstępnej dyskusji uczestniczyły: Małgorzata Sznitowska, Anna Socha-Banasiak i Małgorzata Bała.

Projekt stanowiska Rady przygotowały Małgorzata Dziedziak i Anna Socha-Banasiak, a przedstawiła Małgorzata Dziedziak.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak, Anna Socha-Banasiak, Marcin Kołakowski i Małgorzata Sznitowska.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 2 do protokołu).

Ad 4. Analitik Agencji przedstawił prezentację dot. usunięcia świadczenia Oznaczenie przeciwciał przeciwko gliadynie.

Projekt stanowiska Rady przygotowała i przedstawiła Ewa Obuchowicz.

W dyskusji uczestniczyli: Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski, Ewa Obuchowicz i Anna Socha-Banasiak.

Prowadząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 3 do protokołu).

Ad 5. Analitik Agencji omówił najważniejsze informacje z raportu dot. leku Triplixam.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Małgorzata Sznitowska i Artur Bachta, a przedstawiła Małgorzata Sznitowska.

W dyskusji uczestniczyli: Małgorzata Bała, Małgorzata Sznitowska i Marcin Kołakowski.

Małgorzata Bała i Małgorzata Sznitowska doprecyzowały treść uchwały, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywne stanowisko (załącznik nr 4 do protokołu).

Ad 6. Analitik Agencji zaprezentował najważniejsze dane z raportu dot. leku Tibsovo.

W dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Artur Bachta.

Projekt stanowiska Rady przygotowali Artur Bachta i Małgorzata Sznitowska, a przedstawił Artur Bachta.

Prowadząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 5 do protokołu).

Ad 7. Analitik Agencji zaprezentował dane z raportu dot. produktu leczniczego Lyfnua.

W dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Marcin Lipowski, Marcin Kołakowski, Małgorzata Bała i Ewa Obuchowicz.

Projekt stanowiska Rady przygotowała i przedstawiła Aleksandra Zasada.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Małgorzata Sznitowska, Marcin Kołakowski i Aleksandra Zasada.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywne stanowisko (załącznik nr 6 do protokołu).

Ad 8. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Prażmów z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Głos zabrały Ewa Obuchowicz i Małgorzata Dziedziak.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Paweł Grzesiewski.

Małgorzata Bała i Marcin Kołakowski doprecyzowali treść uchwały, po czym Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 7 do protokołu).

Ad 9. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej gminy Brochów z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Paweł Grzesiewski.

W związku z brakiem głosów w dyskusji, Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 8 do protokołu).

Ad 10. Analitik Agencji omówił program polityki zdrowotnej powiatu leszczyńskiego z zakresu okulistyki.

W dyskusji udział wzięli: Małgorzata Sznitowska, Małgorzata Bała, Marcin Kołakowski i Ewa Obuchowicz.

Projekt opinii Rady przygotowała i przedstawiła Aleksandra Zasada.

W związku z brakiem głosów w dyskusji Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła negatywną opinię (załącznik nr 9 do protokołu).

Ad 11. Analitik Agencji podsumował raport dot. substancji czynnej pemetreksed we wskazaniu pozarejestacyjnym.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Marcin Kołakowski.

Rada doprecyzowała treść uchwały, w czym udział wzięli: Małgorzata Bała, Małgorzata Dziedziak i Marcin Kołakowski.

Prowadząca zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 10 do protokołu).

Ad 12. Analitik Agencji podsumował raport dot. produktu leczniczego Xeomin we wskazaniu pozarejestacyjnym.

Projekt opinii Rady przygotował i przedstawił Marcin Lipowski.

Prowadząca doprecyzowała treść uchwały, po czym zarządziła głosowanie, w wyniku którego Rada 10 głosami „za” uchwaliła pozytywną opinię (załącznik nr 11 do protokołu).

Ad 13. Prowadząca zakończyła posiedzenie o godzinie 14:04.



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

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem opinii jest ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1” jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) u dzieci z zaburzeniami wzrastania. Populację docelową stanowią dzieci i młodzież wymagające diagnostyki lub monitorowania zaburzeń wzrastania, w szczególności pacjenci z niskorostością, zaburzeniami osi GH (ang. growth hormone) – IGF-1 (ang. Insulin-like growth factor 1), urodzeni jako SGA (ang. Small for Gestational Age), z ciężkim pierwotnym niedoborem IGF-1 oraz wybranymi zespołami genetycznymi przebiegającymi z niedoborem wzrostu. Populacja obejmuje również pacjentów leczonych GH lub rekombinowanym IGF-1 oraz osoby wymagające monitorowania przebiegu choroby i skuteczności leczenia.

Oznaczenie IGFBP-3 jest powszechnie stosowane w praktyce klinicznej oraz znajduje odzwierciedlenie w aktualnych standardach postępowania diagnostycznego w analizowanych wskazaniach.

IGFBP-3 stanowi marker funkcjonowania osi GH–IGF-1 i jest oceniany łącznie z IGF-1 oraz obrazem klinicznym pacjenta. Umożliwia różnicowanie niedoboru GH od innych przyczyn niskorostości spowodowanej chorobami przewlekłymi, niedożywieniem lub zaburzeniami metabolicznymi. Badanie jest obecnie wykorzystywane w procesie diagnostyki, kwalifikacji do leczenia oraz monitorowania terapii GH w programach lekowych ujętych w koszyku świadczeń gwarantowanych z zakresu lecznictwa szpitalnego (LSZ).

Zaburzenia wzrastania u dzieci i młodzieży stanowią niejednorodną grupę schorzeń o zróżnicowanej etiologii, obejmującej m.in. zaburzenia hormonalne, choroby genetyczne, choroby przewlekłe oraz niedożywienie. Diagnostyka opiera się na kompleksowej ocenie tempa wzrastania, parametrów antropometrycznych, potencjału genetycznego oraz wyników badań laboratoryjnych, hormonalnych, obrazowych i genetycznych, co pozwala na różnicowanie wariantów prawidłowego wzrastania od stanów patologicznych. Kluczową rolę w regulacji wzrastania odgrywa oś hormon wzrostu GH-IGF-1, a jednym z jej istotnych markerów jest białko wiążące IGF-1 (IGFBP-3). Oznaczenie IGFBP-3 może stanowić pomocnicze badanie w diagnostyce zaburzeń osi GH-IGF-1 oraz, w wybranych przypadkach, wspierać monitorowanie leczenia GH, przy czym podstawowym markerem biochemicznym wykorzystywanym do oceny odpowiedzi na leczenie, przestrzegania zaleceń i ryzyka nadmiernej dawki GH jest IGF-1. Wczesne rozpoznanie i wdrożenie odpowiedniego leczenia mogą zwiększać szansę na poprawę tempa wzrastania i osiągnięcie możliwie optymalnego wzrostu końcowego, przy czym efekty terapii zależą m.in. od przyczyny zaburzenia, wieku rozpoczęcia leczenia, potencjału genetycznego, zaawansowania wieku kostnego oraz odpowiedzi na terapię.

Badanie obejmujące oznaczenie poziomu IGFBP-3 było przedmiotem wcześniejszych analiz AOTMiT przeprowadzonych w ramach projektu Ministra Zdrowia „Odwrócona Piramida Świadczeń”. W opracowaniach z 2025 r., dotyczących analizy proponowanych nowych świadczeń z zakresu diagnostyki i leczenia chorób układu dokrewnego w ramach AOS, wskazano na zasadność uwzględnienia tego badania w dalszym procesie opiniowania i poddanie ocenie zasadności jego włączenia do wykazu świadczeń gwarantowanych w ramach AOS, zgodnie z założeniami projektu „Odwrócona Piramida Świadczeń”.

Dowody naukowe

W systematycznym przeglądzie piśmiennictwa (2015–2026) zidentyfikowano 1 przegląd systematyczny z metaanalizą (Shen 2015) oraz 2 retrospektywne badania obserwacyjne (Asik 2022 i Xia 2023).

Wyniki wskazują, że oznaczenie IGFBP-3 jest przydatnym biomarkerem w diagnostyce zaburzeń wzrastania i monitorowaniu odpowiedzi na leczenie GH, natomiast jego wartość diagnostyczna w przypadku zastosowania jako samodzielnego parametru pozostaje ograniczona i uzasadnia stosowanie tego badania jako elementu uzupełniającego, a nie zastępującego referencyjne testy diagnostyczne.

Międzynarodowe wytyczne kliniczne wskazują, że w procesie diagnostycznym oznaczenie IGFBP-3 powinno być wykonywane łącznie z oznaczeniem IGF-1. Dostępne źródła potwierdzają, że IGFBP-3 nie jest samodzielnym badaniem

referencyjnym ani niezbędnym elementem diagnostyki każdego dziecka z zaburzeniami wzrastania.

Wytyczne kliniczne podkreślają, że IGFBP-3 może dostarczać dodatkowych informacji diagnostycznych u dzieci poniżej 3. roku życia (IGGC 2026), być pomocny w diagnostyce niskorostłości u pacjentów urodzonych jako zbyt małych w stosunku do wieku ciążowego (ang. *small for gestational age*, SGA) z niskim stężeniem IGF-1 (ICG 2023) oraz wspierać różnicowanie określonych zaburzeń osi GH–IGF-1, ale nie stanowi samodzielnego kryterium rozpoznawania tej choroby (BSPED 2025). W większości wytycznych nie rekomenduje się rutynowego oznaczania IGFBP-3 w monitorowaniu leczenia GH, wskazując IGF-1 jako podstawowy marker monitorowania leczenia GH. Wyjątek stanowią wybrane jednostki chorobowe, takie jak zespół Silvera–Russella (ESPE 2017) oraz zespół Pradera–Williego (BSPED 2023), w których oznaczenie IGFBP-3 może dostarczać informacji uzupełniających, zwłaszcza przy interpretacji stężenia IGF-1 lub nietypowej odpowiedzi na leczenie. Nie oznacza to jednak, że IGFBP-3 zastępuje IGF-1 jako podstawowy marker monitorowania terapii GH.

Opinie ekspertów były zgodne co do zasadności finansowania oznaczenia IGFBP-3 w ramach AOS we wnioskowanych wskazaniach. Podkreślono, że badanie stanowi istotny element diagnostyki i monitorowania zaburzeń osi GH–IGF-1, wspiera różnicowanie przyczyn zaburzeń wzrastania oraz kwalifikację i ocenę skuteczności leczenia GH. Eksperci wskazali, że brak dedykowanego kodu ICD-9 i możliwości rozliczania świadczenia w ramach AOS ogranicza dostęp do badania i prowadzi do konieczności hospitalizacji lub finansowania go przez pacjentów. Wykonywanie świadczenia w ramach AOS mogłoby skrócić proces diagnostyczny, ograniczyć liczbę hospitalizacji diagnostycznych oraz usprawnić opiekę zgodnie z założeniami projektu „Odwrócona Piramida Świadczeń”, przy zachowaniu interpretacji wyników łącznie z oznaczeniem IGF-1 i obrazem klinicznym pacjenta.

Informacje dotyczące oznaczenia IGFBP-3 zidentyfikowano w 8 krajach. W przypadku oznaczenia stężenia IGFBP-3 informacje o finansowaniu badania zidentyfikowano w Wielkiej Brytanii, Niemczech, Włoszech, Czechach, Szwajcarii, Chorwacji oraz USA, przy czym w Wielkiej Brytanii potwierdzono dostępność badania w ramach NHS bez wskazania odrębnego mechanizmu jego finansowania. Natomiast w USA wykazano możliwość kodowania badania, bez potwierdzenia automatycznego pokrycia jego kosztu przez Medicare, Medicaid lub płatników prywatnych. W większości analizowanych krajów badanie jest uwzględnione w publicznie finansowanej diagnostyce laboratoryjnej realizowanej w AOS lub w systemach rozliczeń obejmujących zarówno świadczenia ambulatoryjne, jak i szpitalne. Wyjątek stanowi Belgia, w której odnaleziono bezpośredni dowód braku refundacji oznaczenia IGFBP-3 w ramach publicznego systemu ubezpieczenia zdrowotnego.

Problem ekonomiczny

Koszt realizacji świadczenia oznaczenie IGFBP3 – białko wiążące IGF-1 oszacowano na podstawie danych o jednostkowych kosztach wytworzenia procedur medycznych przekazanych przez świadczeniodawców, analizy dostępnych na rynku cenników komercyjnych oraz informacji dotyczących warunków realizacji świadczenia zawartych w KŚOZ.

W oparciu o przeprowadzoną analizę zaproponowano wycenę świadczenia na poziomie 111 PLN, co przy wartości punktu rozliczeniowego wynoszącej 1,86 PLN odpowiada 60 punktom.

Wyniki analizy wskazują, że szacowana liczba pacjentów w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym analizy wynosi w 1. roku: 1 913, 2. roku: 2 105, 3. roku: 2 297. Szacowana liczba badań w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym wynosi w 1. roku: 5 739, 2. roku: 6 315, 3. roku: 6 891. Szacowane całkowite koszty w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym wynoszą w 1. roku: 637 029 PLN, 2. roku: 700 965 PLN, 3. roku: 764 901 PLN.

Główne argumenty decyzji:

- *Badanie diagnostyczne zgodne z powszechną praktyką kliniczną oraz rekomendacjami, wykorzystywane w diagnostyce i monitorowaniu zaburzeń wzrastania u dzieci, stanowiące uzupełnienie względem oznaczenia IGF-1.*
- *Włączenie oznaczenia IGFBP-3 do katalogu świadczeń gwarantowanych z zakresu AOS jest zgodne z założeniami projektu „Odwrócona Piramida Świadczeń”.*
- *Akceptowalny wpływ na wydatki dla płatnika publicznego.*
- *Finansowanie badania w AOS pozytywnie wpłynie na skrócenie czasu procesu diagnostycznego oraz ograniczy potrzebę hospitalizacji diagnostycznych.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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), z uwzględnieniem raportu: nr: DMiO SZ.4100.4.2026 „Oznaczenie IGFBP-3 – białko wiążące IGF-1”; data ukończenia: 19.08.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 119/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie zasadności kwalifikacji świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczenie osmolalności moczu” jako świadczenia gwarantowanego

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne zakwalifikowanie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczenie osmolalności moczu” jako odrębnego świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem opinii jest ocena zasadności zakwalifikowania świadczenia opieki zdrowotnej pn. oznaczenie osmolalności moczu jako świadczenia gwarantowanego z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) w populacji pacjentów z zakresu endokrynologii i diabetologii dziecięcej z zaburzeniami równowagi wodno-elektrolitowej, obejmującej rozpoznania ICD-10: D44.3, E10.1-E10.9, E11.1-E11.9, E13.1, E14, E22.2, E23.0, E23.2, E23.6, E26.0, E26.1, E26.8, E26.9, E27.1, E27.2, E27.3, E27.4, E27.9, E31.0, E34.3, E34.8, E34.9, E86, E87.0, E87.1, E87.7, E87.8, E89.3, N17, N18.1-N18.9, N25.1, N39.8, R35, R63.1, R73.9. Populację docelową stanowią dzieci i młodzież wymagająca diagnostyki lub monitorowania zaburzeń gospodarki wodno-elektrolitowej, w szczególności dzieci z podejrzeniem moczówki prostej, poliurią, polidypsją oraz zaburzeniami stężenia sodu. Populacja obejmuje również pacjentów z rozpoznaną moczówką prostą wymagających monitorowania leczenia oraz dzieci z chorobami nerek i innymi schorzeniami przebiegającymi z zaburzeniami zdolności zagęszczania moczu.

Oznaczenie osmolalności moczu stanowi podstawowy element diagnostyki różnicowej tych schorzeń, umożliwia ocenę zdolności nerek do zagęszczania moczu, co pozwala na szybkie różnicowanie między pierwotną polidypsją, niedoborem wazopresyny, diurezą osmotyczną, a zaburzeniami cewek nerkowych. W większości przypadków oznaczenie osmolalności moczu, często w połączeniu z oznaczeniem osmolalności surowicy oraz stężeniem sodu, umożliwia postawienie wstępnego rozpoznania i kwalifikację do dalszej diagnostyki bez konieczności hospitalizacji. U wielu pacjentów oznaczenie osmolalności moczu pozwala uniknąć WDT wykonywanego w warunkach

szpitalnych, który jest badaniem obciążającym i wymaga całodobowego nadzoru medycznego.

Obecnie w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz.U.2016 poz. 357 z późn. zm.) w załączniku nr 2 „wykaz świadczeń gwarantowanych w przypadku badań diagnostycznych oraz warunki ich realizacji” w sekcji E. Chemia kliniczna znajduje się świadczenie N25 Osmolarność.

Osmolarność i osmolalność jako parametry opisujące stężenie cząstek osmotycznie czynnych w roztworze są wartościami pokrewnymi, lecz nie są tożsame:

- osmolalność – określa liczbę osmoli przypadających na kilogram rozpuszczalnika i jest wyrażana w mOsm/kg H₂O, natomiast
- osmolarność – określa liczbę osmoli zawartych w litrze roztworu i wyrażana jest w mOsm/L.

Z fizjologicznego punktu widzenia bardziej miarodajnym parametrem jest osmolalność, odnosząca się do liczby rozpuszczonych cząsteczek w przeliczeniu na masę wody (mOsm/kg H₂O), która determinuje przemieszczanie się wody pomiędzy przestrzenią wewnątrz- i zewnątrzkomórkową. Odniesienie do kilograma wody (osmolalność, mOsm/kg H₂O) ma istotne znaczenie, ponieważ w przeciwieństwie do osmolarności wyrażanej w mOsm/L, nie jest zależne od objętości roztworu ani jego zawartości wody, co pozwala na bardziej miarodajne porównywanie roztworów o różnym składzie i zawartości wody. Z tego względu stosowanie osmolalności (mOsm/kg H₂O) zamiast osmolarności (mOsm/L) jest preferowane w praktyce klinicznej, ponieważ pozwala uniknąć niejednoznaczności podczas porównywania roztworów o różnej zawartości wody. Osmolalność odnosi się do masy rozpuszczalnika, nie zależy od zmian objętości wywołanych wahaniami temperatury czy ciśnienia. Z tego względu jest uznawana za dokładniejszy parametr oceny właściwości osmotycznych płynów ustrojowych. Osmolalność należy do właściwości koligatywnych roztworów, co oznacza, że zależy od całkowitej liczby cząstek rozpuszczonych, a nie od ich rodzaju, masy czy właściwości chemicznych. W praktyce laboratoryjnej najczęściej oznacza się i raportuje osmolalność moczu, którą można wyznaczać bezpośrednio przy użyciu osmometrów, najczęściej metodą obniżenia temperatury krzepnięcia. Natomiast osmolarność jest najczęściej wartością obliczaną na podstawie stężeń substancji osmotycznie czynnych, głównie sodu, mocznika i glukozy.

Badanie obejmujące oznaczenie osmolalności moczu było przedmiotem wcześniejszych analiz AOTMiT przeprowadzonych w ramach projektu Ministra Zdrowia „Odwrócona Piramida Świadczeń”. W opracowaniach z 2025 r.,

dotyczących nowych świadczeń z zakresu diagnostyki i leczenia chorób układu dokrewnego w ramach AOS, oceniono zasadność ich finansowania w oparciu o analizę wytycznych klinicznych, dostępności świadczeń gwarantowanych oraz obowiązujących zasad finansowania. Wyniki analiz wskazały na zasadność uwzględnienia tego badania w dalszym procesie opiniowania i poddanie ocenie zasadności jego włączenia do wykazu świadczeń gwarantowanych w ramach AOS, zgodnie z założeniami projektu „Odwrócona Piramida Świadczeń”.

Dowody naukowe

W ramach systematycznego przeglądu baz informacji medycznej, ograniczonego do lat 2015–2026, odnaleziono 1 retrospektywne badanie obserwacyjne (Sousa 2025), oceniające wartość diagnostyczną osmolalności moczu u dzieci i młodzieży z podejrzeniem zespołu poliurii-polidypsji.

Wyniki badania Sousa 2025 wskazują, że oznaczenie osmolalności moczu stanowi wartościowy element diagnostyki zespołu poliurii-polidypsji u dzieci i młodzieży. Odpowiednio dobrane wartości odcięcia wyjściowej oraz maksymalnej osmolalności moczu uzyskały wysokie parametry diagnostyczne, umożliwiając różnicowanie zaburzeń wydzielania lub działania argininowazopresyny od pierwotnej polidypsji. Ponadto wykazano, że wyjściowa osmolalność moczu >279 mOsm/kg H_2O oraz maksymalna osmolalność moczu >533 mOsm/kg H_2O mogą wiarygodnie wykluczyć zaburzenia wydzielania lub działania argininowazopresyny, co może potencjalnie ograniczyć konieczność wykonywania pełnego WDT lub umożliwić jego wcześniejsze zakończenie.

Oznaczenie osmolalności moczu stanowi badanie laboratoryjne powszechnie wykorzystywane w praktyce klinicznej. Jego zastosowanie znajduje odzwierciedlenie w aktualnych krajowych i międzynarodowych wytycznych postępowania klinicznego, w których jest rekomendowane jako element diagnostyki zaburzeń gospodarki wodno-elektrolitowej. Wytyczne rekomendują jednoczesną ocenę osmolalności moczu i surowicy jako element podstawowej diagnostyki dzieci z poliurią i polidypsją (PTMR 2019, PES 2020, ERKNet/ESPN 2025). Podkreślają również znaczenie tego badania zarówno w kwalifikacji do dalszej diagnostyki, jak i interpretacji wyników testu odwodnieniowego (WDT) oraz testu z desmopresyną (PTMR 2019, ERKNet/ESPN 2025). Oznaczenie osmolalności moczu po podaniu desmopresyny, interpretowane łącznie z diurezą i innymi parametrami klinicznymi, umożliwia ocenę zdolności zagęszczania moczu, ocenę odpowiedzi na desmopresynę oraz wspomaga różnicowanie moczówki prostej ośrodkowej i nerkopochodnej (PTMR 2019, ERKNet/ESPN 2025).

Problem ekonomiczny

Koszt realizacji świadczenia oznaczenie osmolalności moczu oszacowano na podstawie danych o jednostkowych kosztach wytworzenia procedur

medycznych przekazanych przez świadczeniodawców, analizy dostępnych na rynku cenników komercyjnych oraz informacji dotyczących warunków realizacji świadczenia zawartych w KŚOZ.

W kontekście znacznego podobieństwa obu badań pod względem zastosowań klinicznych oraz praktyki ich wykorzystania świadczenie dostępne w wykazie AOS: N25 Osmolarność stanowi potencjalny punkt odniesienia dla wyceny oraz zasadności uwzględnienia w jego zakresie również oznaczenia osmolalności, bez ograniczania procedury do określonego materiału biologicznego.

W oparciu o przeprowadzoną analizę zaproponowano wycenę świadczenia oznaczenie osmolalności moczu na poziomie 19 zł, co przy wartości punktu rozliczeniowego wynoszącej 1,86 zł odpowiada 10 punktom.

Analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego w 3-letnim horyzoncie czasowym (lata 2027–2029) i przedstawia koszty związane z wprowadzeniem wnioskowanego świadczenia do koszyka świadczeń gwarantowanych w AOS. Szacowana liczba pacjentów w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym analizy wynosi w 1. roku: 19 945, 2. roku: 21 194, 3. roku: 22 442. Szacowana liczba badań w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym wynosi w 1. roku: 79 780, 2. roku: 84 776, 3. roku: 89 768. Szacowane całkowite koszty w latach 2027–2029 w wariancie podstawowym wynoszą w 1. roku: 1 515 820 PLN, 2. roku: 1 610 744 PLN, 3. roku: 1 705 592 PLN. Przedstawione koszty nie stanowią kosztu inkrementalnego.

Główne argumenty decyzji:

- *Badanie to jest możliwe do wykonania w ramach istniejącej procedury ICD-9 N25;*
- *Z uwagi na podobną wartość kliniczną oznaczenia osmolalności i osmolarność zasadne wydaje się połączenie tych dwóch procedur w ramach funkcjonującego i finansowanego jednego kodu ICD-9 N25;*
- *Osmolalność to najczęściej stosowany w praktyce parametr diagnostyczny.*

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31c ust. 6 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), z uwzględnieniem raportu nr: DMiOSZ.4100.4.2026 „Oznaczenie osmolalności moczu”; data ukończenia: 19.08.2026 r.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 120/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej
„Oznaczanie przeciwciał przeciwko gliadynie (ICD-9 N81; N83)”
z wykazu świadczeń gwarantowanych

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne usunięcie świadczenia opieki zdrowotnej „Oznaczanie przeciwciał przeciwko gliadynie (ICD-9 N81; N83)” z wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Celem opinii jest ocena zasadności usunięcia świadczenia opieki zdrowotnej oznaczanie przeciwciał przeciwko natywnej gliadynie klasy IgG (IgG-AGA) oraz IgA (IgA-AGA) (ICD-9 N81; N83) z wykazu świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (AOS) i rozpatrzenie klinicznych, organizacyjnych i systemowych konsekwencji ich usunięcia z wykazu świadczeń gwarantowanych.

Oznaczanie IgG-AGA oraz IgA-AGA (ICD-9 N81; N83) było elementem diagnostyki i monitorowania celiakii w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Celiakia (ICD-10: K90.0) jest przewlekłą chorobą uwarunkowaną genetycznie o podłożu autoimmunologicznym. W wyniku spożywania glutenu, dochodzi do aktywacji procesów autoimmunizacyjnych, które skutkują produkcją swoistych przeciwciał przeciwko transglutaminazie tkankowej 2 (TG2) i deamidowanym peptydom gliadyny (DGP). Proces ten wywołuje autoimmunologiczną reakcję zapalną w jelicie cienkim, prowadzącą do zaniku kosmków błony śluzowej i uszkodzenia struktury jelita. Obraz kliniczny celiakii jest zróżnicowany, mogą występować zarówno symptomy ze strony układu pokarmowego, jak i pozajelitowe. Nierozpoznana lub nieleczona celiakia może prowadzić do licznych powikłań dotyczących różnych narządów. U pacjentów stosowana jest dieta bezglutenowa.

Konieczna jest zatem właściwa diagnostyka celiakii, a także monitorowanie skuteczności stosowania diety bezglutenowej. Diagnostyka obejmuje badania serologiczne - oznaczanie w surowicy krwi IgA-TG2 lub IgG-TG2; lub IgG-DGP

lub IgG-EMA (przeciwciała endomyszalne) i badania histologiczne wycinków z dwunastnicy.

Obecnie w ramach diagnostyki i monitorowania celiakii w AOS jako świadczenia gwarantowane ujęte są następujące procedury ICD-9:

- *L85 Immunoglobuliny A (IgA),*
- *N79 Przeciwciała przeciw endomysium (IgG-EMA),*
- *N81 Przeciwciała przeciw gliadynie klasy IgG (IgG-AGA),*
- *N83 Przeciwciała przeciw gliadynie klasy IgA (IgA-AGA).*

W przypadku oznaczeń zalecanych zgodnie z aktualnymi wytycznymi klinicznymi prezes AOTMiT w dn. 26 listopada 2025 r. wydał rekomendację (nr 184/2025) dla zakwalifikowania do wykazu świadczeń gwarantowanych w ramach AOS oznaczenia przeciwciał IgA-TG2 i IgG-TG2 w diagnostyce celiakii oraz monitorowaniu skuteczności diety bezglutenowej, przy jednoczesnym braku rekomendacji dla ich stosowania jako badań przesiewowych w grupach ryzyka. Oznaczenia IgG-DGP nie są aktualnie finansowane ze środków publicznych.

Dowody naukowe

Przeciwciała przeciwko natywnej gliadynie (AGA) były jednymi z pierwszych markerów serologicznych wykorzystywanych w diagnostyce celiakii, ale z uwagi na niższą czułość i swoistość w porównaniu z nowszymi testami od ponad dekady ich oznaczanie nie jest już zalecane.

Aktualne wytyczne kliniczne (National Institute for Health and Care Excellence 2015 (NICE), European Society Paediatric Gastroenterology, Hepatology and Nutrition 2020 (ESPGHAN), American College of Gastroenterology 2023 (ACG), European Society for Study of Coeliac Disease 2025 (ESsCD) wskazują, że pierwszym krokiem w diagnostyce celiakii u osób z podejrzeniem choroby (objawy kliniczne lub przedmiotowe) jako badanie przesiewowe powinno być wykonanie oznaczenia przeciwciał IgA-TG2 oraz stężenia całkowitego IgA w surowicy krwi. W przypadku niedoboru IgA, zalecane jest oznaczenie przeciwciał w klasie IgG: IgG-TG2 lub IgG-DGP (ESsCD 2025, ACG 2023) lub IgG-EMA (ESPGHAN 2020, NICE 2015).

Zgodnie z opinią ekspertów oznaczenia anty-AGA nie są rekomendowane w diagnostyce celiakii, mają niższą wartość diagnostyczną niż oznaczenia anty TG2 oraz wiążą się z ryzykiem wyników fałszywie dodatnich.

W Anglii, Francji, Portugalii, Australii oraz Chorwacji finansowane są badania zgodne z kryteriami diagnostycznymi celiakii tj. anty-TG2 i anty-EMA, a w Anglii i Portugalii także anty-DGP.

Problem ekonomiczny

W latach 2022-2025 łączna liczba wykonanych procedur N81 oraz N83 wynosiła 53 138. W wyniku usunięcia procedur N81 oraz N83 z wykazu świadczeń gwarantowanych oszczędności płatnika publicznego wynosiłyby od ok. 771 tys. zł. do ok. 1,14 mln zł w zależności od analizowanego wariantu (wariant A – 13 285 procedur rocznie, obejmuje średnią liczbę procedur sprawozdanych w latach 2022-2025; wariant B – 17 557 procedur w pierwszym roku, 19 664 procedur w drugim roku, obejmuje prognozowaną liczbę procedur). W przypadku zastąpienia procedur N81 oraz N83 oznaczeniami przeciwciał przeciwko TG-2 (w obu klasach), z uwagi na wyższą wycenę procedury, szacowane koszty płatnika wzrosłyby w zależności od analizowanego wariantu o ok. 478 tys. zł (wariant A) do ok. 708 tys. zł (wariant B).

Główne argumenty decyzji:

- Dostosowanie wykazu świadczeń do aktualnych rekomendacji klinicznych;
- Eliminacja badań o niskiej wartości diagnostycznej;
- Usunięcie procedur N81 i N83 może przyczynić się do ujednolicenia diagnostyki celiakii;
- Brak istotnego wpływu na wydatki płatnika publicznego.

Uwaga Rady

Oznaczanie przeciwciał (IgA-TG2, IgG-TG2) zostało zarekomendowane do zakwalifikowania do wykazu świadczeń gwarantowanych w ramach AOS.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 pkt 1 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), z uwzględnieniem raportu nr: DOZKiWJ.4102.1.2026; data ukończenia: 19.08.2026 r.



**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 121/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie oceny leku Triplixam (peryndopryl+indapamid
+amlodypina) we wskazaniu: leczenie substytucyjne nadciśnienia
tętniczego samoistnego**

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją produktu leczniczego:

- *Triplixam (perindoprilum argininum + indapamidum + amlodipinum), tabletki powlekane, 5 mg + 1,25 mg + 5 mg, 30 tabl, GTIN: 05901571320038,*
- *Triplixam (perindoprilum argininum + indapamidum + amlodipinum), tabletki powlekane, 5 mg + 1,25 mg + 10 mg, 30 tabl., GTIN: 05901571320069,*
- *Triplixam (perindoprilum argininum + indapamidum + amlodipinum), tabletki powlekane, 10 mg + 2,5 mg + 5 mg, 30 tabl., GTIN: 05901571320090,*
- *Triplixam (perindoprilum argininum + indapamidum + amlodipinum), tabletki powlekane, 10 mg + 2,5 mg + 10 mg, 30 tabl., GTIN: 05901571320120,*

we wskazaniu: terapia substytucyjna w leczeniu nadciśnienia tętniczego samoistnego, u dorosłych pacjentów, u których uzyskano kontrolę ciśnienia podczas stosowania peryndoprylu i indapamidu w produkcie złożonym oraz amlodypiny w oddzielnym preparacie, w takich samych dawkach, jako leku dostępnego w aptece na receptę, w ramach istniejącej grupy limitowej i wydawanie go za odpłatnością 30%, pod warunkiem zaproponowania instrumentu dzielenia ryzyka zabezpieczającego wydatki budżetu płatnika publicznego np. w postaci CAP.

Uzasadnienie

Triplixam to lek trójskładnikowy, stanowiący tzw. single-pill combination (SPC), stosowany u pacjentów z nadciśnieniem tętniczym (NT). Peryndopryl (PER) jest inhibitorem enzymu konwertującego angiotensynę, indapamid (IND) ma działanie moczopędne, amlodypina (AML) jest antagonistą wapnia. Pierwsze pozwolenie na dopuszczenie do obrotu wydano w roku 2014. Przedmiotowe wnioski dotyczą objęcia refundacją produktów leczniczych Triplixam we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach.

Triplixam jest przeznaczony dla osób już odpowiednio kontrolowanych za pomocą peryndoprylu z indapamidem oraz amlodypiny stosowanej oddzielnie. Zasadniczą oczekiwaną korzyścią jest zmniejszenie liczby przyjmowanych

tabletek bez pogorszenia skuteczności terapii. Jako komparator Wnioskodawca wskazał: peryndopryl i indapamid w produkcie złożonym oraz amlodypinę w oddzielnym preparacie, w dawkach takich jak w produkcie leczniczym Triplixam.

Liczba pacjentów z nadciśnieniem tętniczym (NT) w Polsce wynosi około 11 milionów i utrzymuje się na stałym poziomie. W 2021 r. najwięcej pacjentów stosowało leki w monoterapii – 54%, natomiast leki złożone zawierające dwie substancje czynne w postaci SPC (single-pill combination) – 30%.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego nie odnaleziono badań oceniających skuteczność i bezpieczeństwo, spełniających kryteria włączenia odpowiadających zarejestrowanemu wskazaniu. Wszystkie dowody na skuteczność i bezpieczeństwo odnoszą się do populacji pacjentów z NT niekontrolowanym na terapii dwuskładnikowej lub monoterapii.

Dowody naukowe odnoszą się przede wszystkim do wyników badań farmakokinetycznych. Udokumentowano biorównoważność farmakokinetyczną produktu testowego w różnych dawkach i produktów referencyjnych w dawkach odpowiednich: PER 5/IND 1,25 + AML 5; PER 10/IND 2,5 + AML 5, PER 10/IND 2,5 + AML 10.

Opublikowane dowody z rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE) potwierdzają wyższe wskaźniki patient's adherence, gdy leki stosowane są w pojedynczej tabletce.

W badaniu Borghi 2023 (158 os.) odsetek pacjentów przestrzegających zaleceń terapeutycznych był istotnie wyższy w przypadku stosowania preparatu złożonego PER/IND/AML w jednej tabletce niż w przypadku stosowania skojarzenia PER/IND + AML (75,3% vs 44,3%; $p < 0,05$). Mniejszy był odsetek pacjentów częściowo przestrzegających zaleceń terapeutycznych (10,1% vs 38,0%, $p < 0,001$) lub słabo przestrzegających zaleceń (14,6% vs 17,7%; $p < 0,001$).

Badanie Snyman 2024 objęło 12 150 os. w kohorcie jednotabletkowej i 6 105 os. w kohorcie wielotabletkowej. Odsetek pacjentów z prawidłową adherencją był istotnie większy w kohorcie jednotabletkowej (59,9% vs 26,9%; $p < 0,001$). Odnotowano mniejszy odsetek pacjentów nieprzestrzegających leczenia (20,8% vs 54,0% vs; $p < 0,001$). Natomiast podobne wartości obserwowano w odniesieniu do częściowego przestrzegania leczenia (19% w obu kohortach). Po pierwszym roku obserwacji wskaźnik śmiertelności był niższy w kohorcie jednotabletkowej (29,9 na 1000 osobo-lat, średni okres obserwacji $1,6 \pm 0,9$ roku) niż w kohorcie wielotabletkowej (33,7 na 1000 osobo-lat, średni okres obserwacji $3,3 \pm 2,3$ roku) ($p < 0,05$). U pacjentów, którym przepisano leczenie w postaci pojedynczej tabletki odnotowano niższą częstość występowania złożonego

punktu końcowego obejmującego zgon oraz zdarzenia sercowo-naczyniowe (105,8 vs 139,0 na 1000 osobo-lat; $p < 0,001$).

Wytyczne kliniczne

W wytycznych wskazano, że po niepowodzeniu terapii dwulekowej stosuje się terapię trójkową, najczęściej składającą się z: inhibitora ACE/ARB + CCB + diuretyk tiazydowy/diuretyk tiazydopodobny. Do takiego skojarzenia należy oceniany produkt leczniczy Triplixam. We wszystkich odnalezionych wytycznych klinicznych (polskie PTNT/PTK 2024, europejskie ESH 2024 oraz ESC 2024 i amerykańskie 2025) znajduje się zalecenie przyjmowania terapii w postaci preparatów złożonych (SPC).

Problem ekonomiczny

Wnioskodawca nie zaproponował instrumentu dzielenia ryzyka.

Głównymi ograniczeniami analizy ekonomicznej są niepewność dotycząca objęcia produktu leczniczego Triplixam częścią D2 Wykazu oraz niepewność dotycząca kwalifikacji do grupy limitowej. Włączenie leku do nowej grupy limitowej oraz decyzja o włączeniu na część D2 Wykazu wiązało się ze znaczną zmianą kosztów inkrementalnych (od -69,6% do -148,8%) w tym, zmianą wnioskowania względem scenariusza podstawowego (tj. dodatkowe koszty NFZ zamiast oszczędności).

Finansowanie produktu leczniczego Triplixam w ramach grupy limitowej 44.0 „Inhibitory konwertazy angiotensyny – produkty jednoskładnikowe i złożone”, przy założeniu refundacji w wykazie A1 bez uwzględnienia wykazu D2, według Wnioskodawcy będzie generować oszczędności z perspektywy płatnika publicznego: 7,2 mln PLN w 1. roku; 10,1 mln PLN w 2. roku oraz wzrost kosztów ponoszonych przez pacjentów: od 25,07 PLN do 31,99 PLN miesięcznie, w zależności od prezentacji produktu leczniczego. Najmniejsze oszczędności odnotowano w scenariuszu zakładającym utworzenie nowej grupy limitowej. Oszczędności NFZ wynosiły od 0,8 mln PLN do 9,1 mln PLN w 1. roku oraz od 1,1 mln PLN do 12,7 mln PLN w 2. roku analizy.

Obliczenia własne Analityków Agencji wpływają na zmianę wnioskowania zaprezentowanego przez Wnioskodawcę w wariantcie analizy podstawowej uwzględniającej wykaz D2 (65+). W przypadku podjęcia decyzji przez Ministra Zdrowia o refundacji w grupie limitowej 44.0 uwzględniając przepływ populacji pacjentów stosujących aktualnie lek poza refundacją oszczędności publicznego płatnika będą na poziomie 1,1 - 3,3 mln PLN w I roku. Natomiast w II roku analizy w zależności od wariantu, mogą to być oszczędności rzędu 0,2 - 3,4 mln PLN.

Oznacza to zmniejszenie oszczędności po stronie NFZ o 6,1 mln PLN w I roku i o 9,9 mln PLN w II roku.

Oszczędności z perspektywy NFZ wynikają z nieuwzględnienia produktu leczniczego Triplexam w części D2 Wykazu, podczas gdy technologie alternatywne są obecnie dostępne w ramach tego wykazu. Wyniki obliczeń własnych analityków Agencji wskazują na wysoką wrażliwość na założenie dotyczące objęcia ocenianej technologii wykazem D2 (65+). Przyjęcie tego założenia powoduje zmianę szacowanego wpływu na budżet publicznego płatnika z oszczędności w kierunku dodatkowych kosztów wynoszących ok. 23,1 – 26,8 mln PLN w I roku oraz do ok. 37,9 – 43,3 mln PLN w II roku. Stanowi to dodatkowe obciążenie budżetu NFZ względem wariantu podstawowego o 27,2 mln PLN w I roku oraz 43,9 mln PLN w II roku.

W przypadku analizy włączenia do grupy limitowej 36.0 oraz uwzględnienia w ramach komparatora kosztów innych połączeń peryndopryl, indapamidu i amlodypina niż wskazanych w ChPL Triplexam nie odnotowano zmiany wnioskowania, a różnice w kosztach inkrementalnych nie przekraczały 20%.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono jedną pozytywną rekomendację refundacyjną HAS 2024 dla leku złożonego Triplexam. Wskazano w niej, że połączenie trójkowe w jednej tabletkie przynosi istotną korzyść kliniczną wynikającą ze stosowania leku, ale brak jest dodatkowej korzyści klinicznej względem technologii opcjonalnych.

Triplexam jest finansowany w [REDAKTOWANE] UE i EFTA (na 30 wskazanych).

Główne argumenty decyzji:

- Wyższe wskaźniki przestrzegania zaleceń farmakoterapeutycznych przez pacjentów i korzyści kliniczne,
- Leczenie zgodne z aktualnymi wytycznymi klinicznymi,
- W przypadku wprowadzenia preparatu na listę D2 znacznemu zwiększeniu ulegną wydatki płatnika publicznego.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: O TAP.4130.9.2026 „Wniosek o objęcie refundacją leku Triplixam (peryndopryl+indapamid+amlodypina) we wskazaniu: leczenie substytucyjne nadciśnienia tętniczego samoistnego, u pacjentów, u których uzyskano kontrolę ciśnienia podczas stosowania peryndoprylu i indapamidu w produkcie złożonym oraz amlodypiny w oddzielnym preparacie, w takich samych dawkach jak w produkcie leczniczym Triplixam”; data ukończenia: 11 sierpnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (ANPHARM Przedsiębiorstwo Farmaceutyczne S.A.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem ANPHARM Przedsiębiorstwo Farmaceutyczne S.A. 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 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: ANPHARM Przedsiębiorstwo Farmaceutyczne S.A.



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 122/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie oceny leku Tibsovo (ivosydenib) w ramach programu
lekowego B.5 „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego
(ICD-10: C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0,
C24.1, C24.8, C24.9)”

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Tibsovo (ivosydenibum), tabletki powlekane, 250 mg, 60 tabl., GTIN: 03664898120737, w ramach programu lekowego B.5 „Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)”, na zaproponowanych warunkach.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rak dróg żółciowych (CCA) stanowi drugi co do częstości występowania pierwotny nowotwór złośliwy wątroby, natomiast mutacje genów IDH należą do najczęściej spotykanych aberracji genetycznych u chorych na CCA (ok. 10-20% wszystkich zachorowań). Zapadalność na CCA charakteryzuje się istotnym zróżnicowaniem geograficznym, w Polsce nowotwór ten odpowiada za około 1% wszystkich zachorowań onkologicznych i 2,5% zgonów nowotworowych.

Iwosydenib jest inhibitorem zmutowanej dehydrogenazy izocytrynianowej 1 (IDH1). Zmutowany IDH1 przekształca alfa ketoglutaran (α -KG) w 2-hydroksyglutaran (2-HG), który blokuje różnicowanie komórkowe oraz sprzyja nowotworzeniu zarówno w nowotworach hematologicznych, jak i niehematologicznych. Mechanizm działania iwosydenibu poza jego zdolnością do zmniejszania stężenia 2-HG i przywracania różnicowania komórkowego nie jest w pełni poznany we wszystkich wskazaniach.

W 2024 roku lek Tibsovo był poddany ocenie w Agencji jako technologia lekowa o wysokim poziomie innowacyjności (TLI) we wskazaniu leczenie przerzutowego raka dróg żółciowych, z mutacją IDH1, jednak ostatecznie nie znalazł się na wykazie TLI.

Dowody naukowe

Brak jest randomizowanego badania bezpośrednio porównującego wnioskowaną technologię z przyjętym komparatorem tj. terapią w schemacie

FOLFOX. Dostępne są jedynie wyniki badania obserwacyjnego (z retrospektywną analizą danych zbieranych prospektywnie) z historyczną grupą kontrolną - Niger 2025. Obserwowane grupy były relatywnie niewielkie, tj. grupa badana obejmowała 20 pacjentów a kontrolna 41 pacjentów (przy czym nie wszyscy pacjenci w tej grupie leczenia byli schematem FOLFOX).

W badaniu tym dla wnioskowanej terapii wykazano istotne wydłużenie przeżycia wolnego bez progresji (PFS) odpowiednio 6,9 mies. vs 2,1 mies. oraz istotne wydłużenie przeżycia całkowitego (OS) odpowiednio 15,9 mies. vs 9,0 mies.

Dodatkowo dostępne są wyniki trzech badań retrospektywnych obserwacyjnych jednoramiennych, oraz wyniki badania rejestracyjnego porównującego wnioskowaną technologię z placebo.

Wytyczne kliniczne

Aktualne wytyczne leczenia dorosłych pacjentów z miejscowo zaawansowanym lub przerzutowym rakiem dróg żółciowych w II i kolejnych liniach leczenia zalecają schemat FOLFOX (który obejmuje oksaliplatynę, 5-fluorouracyl oraz leukoworynę, podawane w dawkach dostosowanych do aktualnego stanu chorego) a w niektórych przypadkach schemat FOLFIRI, natomiast w celu stosowania terapii celowanej pacjenci powinni przejść profilowanie molekularne. W omawianym wskazaniu, tj. po potwierdzeniu mutacji IDH1, rekomendowaną terapią jest leczenie iwosydenibem.

Problem ekonomiczny

W celu wyznaczenia kosztów i efektów zdrowotnych wykonano model farmakoekonomiczny, oparty na parametrach OS i PFS wyznaczonych na podstawie danych z badania typu RWE - Niger 2025.

Zgodnie z oszacowaniami stosowanie iwosydenibu w miejsce schematu FOLFOX jest droższe i skuteczniejsze. Oszacowany ICUR dla porównania iwosydenib vs FOLFOX wyniósł 997 072,89 PLN/QALY w wariancie bez RSS. Oszacowany ICUR dla porównania iwosydenib vs FOLFOX wyniósł [redacted] w wariancie z RSS. Wartość ta znajduje się powyżej progu opłacalności o którym mowa w ustawie o refundacji.

Całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej w wariancie z RSS wiązać się będą [redacted] i wyniosą [redacted] w I roku i [redacted] w II roku analizy.

Rekomendacje refundacyjne

Dostępnych jest 5 rekomendacji finansowych pozytywnych (w tym 2 warunkowo) i 2 rekomendacje negatywne dotyczących stosowania Tibsovo (iwosydenib) we wskazaniu: miejscowo zaawansowany lub przerzutowy rak dróg żółciowych z mutacją IDH1 po co najmniej jednym wcześniejszym leczeniu systemowym. W rekomendacjach pozytywnych zwraca się głównie uwagę na korzyści kliniczne względem schematu FOLFOX W rekomendacjach negatywnych zwraca

się głównie uwagę na wysokie koszty terapii i jakość dowodów klinicznych. Tibsovo refundowany w 17 krajach UE i EFTA w przedmiotowym wskazaniu.

Główne argumenty decyzji:

- *Niska jakość dowodów naukowych - brak randomizowanego badania bezpośrednio porównującego wnioskowaną technologię z komparatorem;*
- *Niewielka dodatkowa korzyść kliniczna u pacjentów leczonych we wnioskowanym wskazaniu;*
- *Wysokie koszty leczenia w porównaniu z terapią standardową niecelowaną tj. schematem FOLFOX.*

Uwaga Rady

Obecnie dostępne dane naukowe nie pozwalają jednoznacznie stwierdzić przewagi klinicznej iwosydenibu nad standardowo stosowanymi metodami leczenia, a koszt wnioskowanej terapii jest zbyt wysoki względem potencjalnie osiągniętych korzyści zdrowotnych.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r., poz. 1461), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr: OTAD.4131.11.2026 „Wniosek o refundację leku Tibsovo (iwosydenib) w ramach programu lekowego B.5 »Leczenie chorych na raka wątrobowokomórkowego (ICD-10: C22.0) lub raka dróg żółciowych (ICD-10: C22.1, C23, C24.0, C24.1, C24.8, C24.9)«”; data ukończenia: 12 sierpnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakresłone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Servier Polska Sp. z o.o.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Servier Polska Sp. z o.o.) 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 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: (Servier Polska Sp. z o.o.).



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 123/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku
Lyfnua (gefapiksant) we wskazaniu: przewlekły kaszel w przypadku
nieskuteczności i/lub nietolerancji dostępnych na polskim
rynku alternatywnych technologii lekowych

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację leku Lyfnua (gefapiksant), tabletki powlekane, we wskazaniu: przewlekły kaszel w przypadku nieskuteczności i/lub nietolerancji dostępnych na polskim rynku alternatywnych technologii lekowych.

Problem decyzyjny

Produkt leczniczy Lyfnua jest dopuszczony do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej w procedurze centralnej, 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 2026 r. poz. 612).

Gefapiksant jest selektywnym antagonistą receptora P2X3. Gefapiksant wykazuje również aktywność wobec podtypu receptora P2X2/3. Receptory P2X3 są kanałami jonowymi bramkowanymi ATP występującymi na włóknach czuciowych C nerwu błędnego w drogach oddechowych. Włókna C są aktywowane w odpowiedzi na stan zapalny lub działanie chemicznych substancji drażniących. W warunkach stanu zapalnego ATP jest uwalniany z komórek błony śluzowej dróg oddechowych. Wiązanie pozakomórkowego ATP z receptorami P2X3 jest odczuwane przez włókna C jako sygnał uszkodzenia. Aktywacja włókien C, odbierana przez pacjenta jako pilna potrzeba kaszlu, wywołuje odruch kaszlowy. Zablokowanie sygnalizacji ATP przy udziale receptorów P2X3 zmniejsza nadmierną aktywację nerwu czuciowego oraz nadmierny kaszel indukowane przez pozakomórkowy ATP.

Lek został zarejestrowany w procedurze centralnej 15.09.2023 r. Poza gefapiksantem brak jest zarejestrowanych technologii w przedmiotowym wskazaniu.

Dowody naukowe

Ocenę skuteczności i bezpieczeństwa stosowania gefapiksantu przeprowadzono na podstawie 2 głównych badań rejestracyjnych RCT z grupą kontrolną placebo: COUGH-1 oraz COUGH-2, przeprowadzonych według zbliżonego projektu badania oraz badania RCT z grupą kontrolną placebo P043, stanowiącego badanie wspierające dla głównych badań rejestracyjnych.

Skuteczność

W badaniach COUGH-1 i COUGH-2 u pacjentów leczonych gefapiksantem podawanym w dawce 45 mg dwa razy na dobę wykazano zmniejszenie częstości kaszlu w okresie 24 godzin w porównaniu z pacjentami otrzymującymi placebo. W pierwszym badaniu po 12 tyg. leczenia szacowana względna redukcja (ERR) częstotliwości kaszlu w ciągu 24 godzin w porównaniu z placebo wyniosła -18,52% ($p=0,036$), z kolei w drugim badaniu po 24 tyg. leczenia: -13,29% ($p=0,048$). W badaniu COUGH-1 oraz COUGH-2 grupa przyjmująca gefapiksant odnotowała redukcję liczby epizodów kaszlu na godzinę w stanie czuwania w stosunku do placebo. ERR wyniósł odpowiednio -18,33% ($p=0,040$) oraz -14,31% ($p=0,038$) w badaniu COUGH-1 i COUGH-2.

W żadnym z badań nie wykazano istotnych statystycznie (IS) różnic między grupami w zakresie odsetka pacjentów, którzy osiągnęli $\geq 30\%$ redukcję częstotliwości kaszlu w ciągu 24 godzin względem wartości wyjściowej (COUGH-1: szacowany OR=1,26; $p=0,277$; COUGH-2: szacowany OR=1,35; $p=0,06$).

W badaniach COUGH-1 i COUGH-2 odsetek pacjentów z ≥ 30 mm redukcją wyniku nasilenia kaszlu w skali VAS w stosunku do wartości wyjściowej, był wyższy w grupie gefapiksantu niż w grupie placebo (odpowiednio: 39,1% vs 29,6% oraz 51,1% vs 40,3%). Różnice między grupami były IS, a szacowany OR wyniósł odpowiednio 1,53 (95% CI: 1,03; 2,27) i 1,55 (95% CI: 1,16; 2,07).

W 12. tygodniu badania COUGH-1 odsetek pacjentów, którzy osiągnęli minimalną klinicznie istotną poprawę jakości życia definiowaną jako $\geq 1,3$ -punktowy wzrost całkowitego wyniku w kwestionariuszu Leicester Cough Questionnaire (LCQ), był nieznacznie wyższy w grupie gefapiksantu (66,7%) niż w grupie placebo (61,7%) (OR=1,26 (95% CI: 0,84; 1,89)). W 24. tygodniu badania COUGH-2 odsetek ten wyniósł odpowiednio 75,7% w grupie gefapiksantu oraz 68,1% w grupie placebo (OR=1,46; $p=0,016$).

W wspierającym badaniu P043 w 12. tygodniu odnotowano większą poprawę całkowitego wyniku LCQ w grupie gefapiksantu niż w grupie placebo (średnia zmiana względem wartości wyjściowej: 4,34 vs 3,59), a różnica między grupami była IS (0,75; $p=0,034$). W zakresie średniego tygodniowego wyniku nasilenia kaszlu w skali VAS w 12. tygodniu odnotowano, iż średnia zmiana względem wartości wyjściowej w grupie gefapiksantu oraz placebo wyniosła odpowiednio -31,79 oraz -24,87. Oszacowana różnica wyniosła -6,92 (95% CI: -11,88; -1,97).

W analizie eksploracyjnego punktu końcowego wykazano, że gefapiksant wiązał się z większym zmniejszeniem całkowitego wyniku w skali CSD w 12. tygodniu od wartości wyjściowej w porównaniu z placebo (różnica: -0,47; 95% CI: -0,88; -0,06).

W analizie post hoc odsetek pacjentów osiągających klinicznie istotną poprawę całkowitego wyniku LCQ ($\geq 1,3$ punktu względem wartości wyjściowej) był wyższy w grupie gefapiksantu niż w grupie placebo (80,6% vs 67,4%; OR=2,01; 95% CI: 1,21-3,32).

Bezpieczeństwo

W badaniach rejestracyjnych (COUGH-1 oraz COUGH-2) po 52 tygodniach stosowania interwencji częstość występowania AE była wyższa w grupie otrzymującej gefapiksant w porównaniu z placebo (88,9% vs 79,0%). Większość obserwowanych AE miała nasilenie łagodne lub umiarkowane. AE związane z leczeniem odnotowano u 68,8% pacjentów stosujących gefapiksant, natomiast w grupie placebo u 20,4% chorych. AE związane z leczeniem prowadzące do przerwania leczenia zarejestrowano u 19,2% stosujących gefapiksant, zaś w populacji placebo u 3,1% pacjentów – zdarzenia te w grupie interwencji związane były głównie z zaburzeniami smaku. Częstość występowania ciężkich TEAEs była porównywalna w grupie gefapiksantu oraz placebo (5,6% vs 5,8%). W grupie ocenianej interwencji nie odnotowano zgonów (vs 2 zgony w grupie placebo). Do najczęściej zgłaszanych AE ($>10\%$) w grupie gefapiksantu w stosunku do placebo należały: dysgeuzja (41,1% vs 5,3%), zapalenie nosogardła (17,6% vs 17,9%), ageuzja (14,6% vs 0,9%), hypogeusia (10,7% vs 0,6%) i zaburzenia smaku (8,9% vs 0,4%). Częstość występowania bólu głowy była taka sama w obu grupach (14,5%).

Zdarzenia niepożądane związane ze smakiem stanowiły zdarzenia będące przedmiotem szczególnego zainteresowania ze względu na przypuszczalny mechanizm działania gefapiksantu. Większość z nich miała łagodne lub umiarkowane nasilenie, a u 96% pacjentów ustąpiła w trakcie leczenia lub po jego zakończeniu.

W badaniu P043 zdarzenia niepożądane częściej odnotowywano u pacjentów leczonych gefapiksanem niż placebo (65,5% vs 43,1%), przy podobnej częstości ciężkich AE ($<2\%$). Zdarzenia niepożądane w grupie ocenianej interwencji obejmowały głównie zaburzenia smaku. Przerwanie leczenia z powodu AE związanych z terapią częściej odnotowywano w grupie gefapiksantu niż placebo (8,7% vs 0,5%).

Główne ograniczenie niniejszej analizy stanowi fakt, że pomimo wykazania istotnej statystycznie przewagi gefapiksantu nad placebo w zakresie redukcji częstości kaszlu, obserwowane różnice między grupami były stosunkowo niewielkie przy jednocześnie wysokiej odpowiedzi na placebo. Do dodatkowych

ograniczeń należą brak badań porównawczych z aktywnym komparatorem, znaczny odsetek brakujących danych po przerwaniu leczenia oraz możliwość częściowego odśledzenia uczestników badania związana z częstym występowaniem zaburzeń smaku w grupie gefapiksantu.

Wytyczne kliniczne

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania zidentyfikowano 3 dokumenty wytycznych dotyczące postępowania w przypadku przewlekłego kaszlu: wytyczne European Respiratory Society 2020 (ERS 2020), British Thoracic Society 2023 (BTS 2023) oraz interaktywne wytyczne American College of Chest Physicians (ACCP). Wytyczne podkreślają znaczenie identyfikacji i leczenia potencjalnych przyczyn przewlekłego kaszlu, w tym chorób współistniejących, ograniczenia narażenia na czynniki ryzyka oraz odstawienia leków mogących indukować kaszel. W przypadku braku odpowiedzi na wdrożone leczenie lub utrzymywania się kaszlu o niewyjaśnionej etiologii, rekomendowana jest terapia lekami o efekcie przeciwkaszlowym wynikającym z mechanizmu działania (gabapentyna, pregabalina; morfina, ew. amitryptylina i kodeina), a także terapia logopedyczną/fizjoterapia. Wytyczne ACCP oraz BTS 2023 wskazują ponadto antagonistów receptora P2X3, w tym gefapiksant, jako jedną z nowych opcji terapeutycznych. Dodatkowo w części wytycznych wymieniono krótkotrwałą antybiotykoterapię, nieopiodowe leki przeciwkaszlowe, wziewne glikokortykosteroidy oraz leki prokinetyczne.

Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, aktualnie ze środków publicznych nie są refundowane żadne produkty lecznicze w ocenianym wskazaniu. Spośród terapii wskazywanych w wytycznych, jedynie kodeina posiada wskazanie rejestracyjne obejmujące leczenie suchego, uporczywego kaszlu, przy czym nie jest ono w pełni zbieżne z ocenianą populacją. Kodeina jest dostępna wyłącznie w preparatach złożonych i nie podlega refundacji. Pozostałe leki są dopuszczone do obrotu w Polsce, jednak nie są zarejestrowane w leczeniu przewlekłego kaszlu, a ich stosowanie w tym wskazaniu ma charakter pozarejestracyjny (off-label).

Świadczenia z zakresu rehabilitacji pulmonologicznej, także z wykorzystaniem metod subterraneoterapii oraz rehabilitacji osób z dysfunkcją narządu słuchu i mowy są refundowane na podstawie Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. (Dz. U. z 2013 r., poz. 1522 z późn. zm.) w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej.

Problem ekonomiczny

Oszacowany koszt roczny produktu leczniczego Lyfnua na jednego pacjenta wynosi ok. [REDAKTOWANE] (wariant podstawowy), przy założeniu kontynuacji leczenia przez 12 miesięcy.

W wyniku wyszukiwania rekomendacji refundacyjnych dla gefapiksantu (Lyfnua) w innych krajach odnaleziono jedynie informację o zakończeniu procesu oceny przez NICE bez wydania rekomendacji.

Główne argumenty decyzji:

- *Badania kliniczne wskazujące na umiarkowaną skuteczność gefapiksantu w porównaniu z placebo;*
- *Brak badań porównawczych z aktywnym komparatorem;*
- *Trudna do oszacowania wielkość populacji;*
- *Brak rekomendacji refundacyjnych leku w innych krajach.*

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: OTLI.414.2.2026 „Lyfnua (gefapiksant) we wskazaniu: przewlekły kaszel w przypadku nieskuteczności i/lub nietolerancji dostępnych na polskim rynku alternatywnych technologii lekowych”; data ukończenia: 20 sierpnia 2026 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

*Dane zakreślone **kolorem czarnym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na przedsiębiorcy: firm farmaceutycznych, których dane m.in. o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.*

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 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: firmy farmaceutyczne, których dane m.in o cenach leków, zawarte są w bazie EURIPID.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 121/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej w zakresie
rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Prażmów
na lata 2027-2029”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Prażmów na lata 2027-2029”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Prażmów: „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Prażmów na lata 2027-2029”. Okres realizacji programu zaplanowano na lata 2027-2029. Łączny szacowany koszt programu planowany jest na poziomie 450 000 zł (150 000 zł rocznie). Program ma zostać sfinansowany ze środków Gminy Prażmów przy ewentualnym dofinansowaniu ze środków NFZ.

Celem głównym programu jest: „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie Gminy Prażmów w latach 2027-2029”. Projekt PPZ zawiera także 1 cel szczegółowy.

Program będzie skierowany do mieszkańców gminy Prażmów w wieku 40 lat i więcej, cierpiących na choroby przewlekłe lub zapalne układu ruchu, urazy lub choroby obwodowego układu nerwowego. Liczebność populacji kwalifikującej się do udziału w PPZ oszacowano na 700 osób rocznie. W związku z ograniczonymi możliwościami finansowymi Gminy, program corocznie obejmie grupę ok. 170 osób.

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada przeprowadzenie:

- Wizyty fizjoterapeutycznej, w ramach której przeprowadzona zostanie kwalifikacja uczestnika do programu oraz zostanie ustalony indywidualny plan rehabilitacyjny, dokonana ocena dolegliwości bólowych w skali VAS, a także przeprowadzona kwalifikacja do działań edukacyjnych.*

- *Indywidualnego planu rehabilitacyjnego – zabiegi zostaną wybrane w oparciu o indywidualne wskazania pacjenta o łącznej sumie 400 ± 15 pkt na cały cykl rehabilitacyjny, trwający 10 dni. Wnioskodawca przedstawił w projekcie zabiegi, które będą mogły wchodzić w skład indywidualnego planu rehabilitacyjnego, tj. między innymi zabiegi realizowane z bezpośrednim zaangażowaniem fizjoterapeuty 1:1 (36,49 pkt), zabiegi kinezyterapii (8,55 pkt), czy też ćwiczenia grupowe ogólnoustrojowe (3,21 pkt).*
- *Działań edukacyjnych – obejmujących jedno, 45-minutowe spotkanie, w grupach liczących maksymalnie 25-osób. Wnioskodawca przedstawił tematykę spotkań, które będą obejmowały zagadnienia związane z rolą diety i suplementacji, znaczeniem aktywności fizycznej oraz ergonomii pracy w profilaktyce wtórnej chorób układu ruchu i urazów, a także sposobami zapobiegania wypadkom i zranieniom. Podczas zajęć podkreślona ma zostać również istotność prowadzenia zdrowego stylu życia oraz przedstawione mają zostać metody radzenia sobie ze stresem. Zaznaczono, że u uczestników działań edukacyjnych przeprowadzona zostanie ocena poziomu wiedzy na podstawie pre-testu przed prelekcją i post-testu po prelekcji.*

W przypadku ukończenia pełnego cyklu rehabilitacyjnego w ramach programu pacjent otrzyma zalecenia dotyczące dalszego postępowania oraz informacje na temat możliwości kontynuowania rehabilitacji na rynku publicznym, zostanie poproszony o wypełnienie krótkiej ankiety satysfakcji pacjenta, której wyniki będą pomocne w ewaluacji programu. W przypadku nieukończenia pełnego cyklu rehabilitacyjnego w ramach programu pacjent zostanie poinformowany o negatywnych skutkach zdrowotnych związanych z przerwaniem uczestnictwa w programie oraz poinformowany o możliwości kontynuowania rehabilitacji na rynku publicznym. Dopuszcza się zakończenie udziału w programie na każdym jego etapie na życzenie pacjenta.

W ramach programu zostanie przeprowadzona akcja informacyjna o programie i o możliwości udziału w nim.

W projekcie PPZ wnioskodawca opisał problem zdrowotny, którego dotyczy planowany PPZ. Projekt posiada cel główny oraz 1 cel szczegółowy. W ramach projektu jego autor wskazał na kryteria włączenia do projektu, a także kryteria wyłączenia z programu. W projekcie programu zaproponowano 2 mierniki efektywności. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarabkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym.

Eksperci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Warunki realizacji PPZ powinny być zgodne z wymogami zawartymi w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Eksperci potwierdzają także zasadność prowadzenie działań edukacyjnych w ramach PPZ.

Należy wskazać, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Zatem Interwencje przewidziane projektem PPZ w tym zakresie są zgodne z aktualną wiedzą medyczną. Projekt PPZ przewiduje także, że realizator programu musi spełniać wymogi lokalowe, sprzętowe i kadrowe, a także zapewniać realizację świadczeń zdrowotnych zgodnie z przepisami rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej, co jest zgodne z opiniami ekspertów.

Należy wskazać, że zgodnie z odnalezionymi informacjami na terenie gminy Prażmów umowy z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej nie podpisano z żadnym świadczeniodawcą.

W uzasadnieniu potrzeby wdrożenia opiniowanego projektu PPZ wnioskodawca wskazał między innymi, że jest on odpowiedzią na niewystarczającą na terenie ww. gminy dostępność do świadczeń zdrowotnych w rodzaju rehabilitacja lecznicza finansowanych ze środków publicznych.

Jednocześnie należy zaznaczyć, że w latach 2020-2022 gmina Prażmów realizowała program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej, a do AOTMiT został przekazany raport z realizacji ww. programu, z którego wynika, że realizacją tego programu objęto 308 osób, 286 osób (92,86%) ukończyło pełen cykl rehabilitacyjny, u 305 osób (99,03%) uzyskano wzrost poziomu wiedzy, natomiast u 293 osób (95,13%) doszło do zmniejszenia dolegliwości bólowych w skali VAS.

Uwagi Rady:

- Nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej celu głównego oraz celu szczegółowego.*
- W kryteriach wyłączenia wskazano korzystanie ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez Gminę Prażmów, NFZ, ZUS, KRUS lub PFRON z powodu jednostek chorobowych objętych PPZ, w okresie 6 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu, przy czym nie doprecyzowano, w jaki sposób*

ww. okoliczność będzie ustalana i dokumentowana (np. oświadczenie uczestnika).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.49.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Prażmów na lata 2027-2029” realizowany przez: Gminę Prażmów; data ukończenia: sierpień 2026 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 122/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej
w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Brochów
na lata 2026-2029”

Rada Przejrzystości pozytywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Brochów na lata 2026-2029”, pod warunkiem uwzględnienia uwag Rady.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Gminę Brochów: „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Brochów na lata 2026-2029”.

Okres realizacji programu przewidziano na lata 2026-2029. Całkowite koszty programu oszacowano na 735 000 zł. Program będzie finansowany ze środków własnych Gminy Brochów, z możliwością uzyskania dofinansowania ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia.

Celem głównym programu jest: „zmniejszenie dolegliwości bólowych o co najmniej minimalną istotną klinicznie różnicę (14 mm) na skali VAS u co najmniej 30% uczestników programu, dotkniętych problemem urazów, chorób obwodowego układu nerwowego lub chorób układu ruchu, poprzez kompleksowe działania rehabilitacyjne prowadzone na terenie Gminy Brochów w latach 2026-2029”. Projekt PPZ zawiera także 1 cel szczegółowy.

Program będzie skierowany do mieszkańców Gminy Brochów w wieku 18 lat i więcej, z rozpoznaniem choroby przewlekłej lub zapalnej układu ruchu, urazu lub choroby obwodowego układu nerwowego. Liczebność populacji kwalifikującej się do udziału w programie oszacowano na około 320 osób rocznie. Wnioskodawca zaznaczył jednak, że ze względu na ograniczenia finansowe, gmina planuje objąć 650 osób w trakcie trwania 4-letniego PPZ.

W zakresie zaplanowanych interwencji projekt PPZ zakłada przeprowadzenie:

- Wizyty fizjoterapeutycznej, w ramach której przeprowadzona zostanie kwalifikacja uczestnika do programu, zaplanowany zostanie indywidualny*

plan rehabilitacyjny, dokonana ocena dolegliwości bólowych w skali VAS, a także przeprowadzona kwalifikacja do działań edukacyjnych.

- Indywidualnego planu rehabilitacyjnego – zabiegi zostaną wybrane w oparciu o indywidualne wskazania pacjenta o łącznej sumie 500 ± 15 pkt na cały cykl rehabilitacyjny, trwający 10 dni. Wnioskodawca przedstawił w projekcie zabiegi, które będą mogły wchodzić w skład indywidualnego planu rehabilitacyjnego, tj. między innymi zabiegi realizowane z bezpośrednim zaangażowaniem fizjoterapeuty 1:1 (36,49 pkt), zabiegi kinezyterapii (8,55 pkt), czy też ćwiczenia grupowe ogólnoustrojowe (3,21 pkt).*
- Działań edukacyjnych – obejmujących tematykę: rola diety oraz suplementacji diety, a także aktywności fizycznej oraz ergonomii pracy w profilaktyce wtórnej chorób układu ruchu oraz urazów, zapobieganie wypadkom i zranieniom, istotność prowadzenia zdrowego trybu życia i sposoby radzenia sobie ze stresem. W projekcie zaplanowano badanie poziomu wiedzy uczestników przy zastosowaniu opracowanego przez realizatora pre-testu przed edukacją oraz post-testu po edukacji, uwzględniającego minimum 5 pytań zamkniętych. Wnioskodawca zaznaczył, że interwencja ta obejmie jedno spotkanie edukacyjne trwające 45 minut prowadzone przez lekarza, pielęgniarkę, fizjoterapeutę lub dietetyka, w grupach maksymalnie 25-osobowych.*

W przypadku ukończenia pełnego cyklu rehabilitacyjnego w ramach programu pacjent otrzyma zalecenia dotyczące dalszego postępowania oraz informacje na temat możliwości kontynuowania rehabilitacji na rynku publicznym, zostanie poproszony o wypełnienie krótkiej ankiety satysfakcji pacjenta, której wyniki będą pomocne w ewaluacji programu. W przypadku nieukończenia pełnego cyklu rehabilitacyjnego w ramach programu pacjent zostanie poinformowany o negatywnych skutkach zdrowotnych związanych z przerwaniem uczestnictwa w programie oraz poinformowany o możliwości kontynuowania rehabilitacji na rynku publicznym. Dopuszcza się zakończenie udziału w programie na każdym jego etapie na życzenie pacjenta.

W ramach programu zostanie przeprowadzona akcja informacyjna o programie i o możliwości udziału w nim.

W projekcie PPZ wnioskodawca opisał problem zdrowotny, którego dotyczy planowany PPZ. Projekt posiada cel główny oraz 1 cel szczegółowy. W ramach projektu jego autor wskazał na kryteria włączenia do projektu, a także kryteria wyłączenia z programu. W projekcie programu zaproponowano 2 mierniki efektywności. Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Dokonując oceny projektu PPZ należy wskazać, że zgodnie z definicją WHO rehabilitacja jest kompleksowym postępowaniem w odniesieniu do osób niepełnosprawnych fizycznie i psychicznie, które ma na celu przywrócenie pełnej lub możliwej do osiągnięcia sprawności fizycznej i psychicznej, zdolności do pracy i zarobkowania oraz zdolności do brania czynnego udziału w życiu społecznym.

Eksperci są zgodni, że istnieje zasadność finansowania Programów Polityki Zdrowotnej z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży. Warunki realizacji PPZ powinny być zgodne z wymogami zawartymi w rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Eksperci potwierdzają także zasadność prowadzenie działań edukacyjnych w ramach PPZ.

Należy wskazać, że wszystkie zaplanowane przez wnioskodawcę interwencje fizykoterapeutyczne i kinezyterapeutyczne znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej. Zatem Interwencje przewidziane projektem PPZ w tym zakresie są zgodne z aktualną wiedzą medyczną. Projekt PPZ przewiduje także, że realizator programu musi spełniać wymogi lokalowe, sprzętowe i kadrowe, a także zapewniać realizację świadczeń zdrowotnych zgodnie z przepisami rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu rehabilitacji leczniczej, co jest zgodne z opiniami ekspertów.

Należy wskazać, że zgodnie z odnalezionymi informacjami na terenie gminy Brochów umowę z NFZ na realizację świadczeń z zakresu rehabilitacji leczniczej posiada tylko jeden świadczeniodawca.

W uzasadnieniu potrzeby wdrożenia opiniowanego projektu PPZ wnioskodawca wskazał między innymi, że jest on odpowiedzią na niewystarczającą na terenie gminy dostępność do świadczeń zdrowotnych w rodzaju rehabilitacja lecznicza finansowanych ze środków publicznych.

Uwagi Rady:

- Nie przedstawiono uzasadnienia dla przyjętej wartości docelowej celu głównego oraz celu szczegółowego.
- W kryteriach wyłączenia wskazano korzystanie ze świadczeń rehabilitacji leczniczej finansowanych przez Gminę Brochów, NFZ, ZUS, KRUS lub PFRON z powodu jednostek chorobowych objętych PPZ, w okresie 6 miesięcy przed zgłoszeniem się do programu, przy czym nie doprecyzowano, w jaki sposób ww. okoliczność będzie ustalana i dokumentowana (np. oświadczenie

uczestnika).

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu nr: DPPZ.451.50.2026 „Program polityki zdrowotnej w zakresie rehabilitacji leczniczej mieszkańców gminy Brochów na lata 2026-2029”; data ukończenia: sierpień 2026 r. oraz Aneksu do raportów szczegółowych: „Programy z zakresu rehabilitacji niepełnosprawnych i zagrożonych niepełnosprawnością dorosłych oraz dzieci i młodzieży – wspólne podstawy oceny” z marca 2024 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 123/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
o projekcie programu „Program polityki zdrowotnej z zakresu
wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z powiatu
leszczyńskiego”

Rada Przejrzystości negatywnie opiniuje projekt programu polityki zdrowotnej „Program polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z powiatu leszczyńskiego”.

Uzasadnienie

Przedmiotem oceny jest projekt programu polityki zdrowotnej zaplanowany do realizacji przez Powiat Leszczyński, zakładający przeprowadzenie badań przesiewowych w kierunku wad wzroku wśród dzieci z III i VIII klas szkół podstawowych. W ramach PPZ zaplanowano także działania informacyjno-edukacyjne dla dzieci ich rodziców/opiekunów prawnych oraz nauczycieli/wychowawców. Program przewidziano na lata 2027-2029. Roczny koszt PPZ został oszacowany na 120 450 zł. Program ma zostać sfinansowany z budżetu Powiatu Leszczyńskiego.

Oceniany projekt dotyczy problemu zdrowotnego, jakim są wady wzroku u dzieci. Populację docelową stanowią: uczniowie klas III oraz VIII szkół podstawowych z terenu powiatu leszczyńskiego (ok. 1 435 w edycji 2026/2027, 1 401 w edycji 2027/2028, 1 426 w edycji 2028/2029) w przypadku badań przesiewowych i działań informacyjno-edukacyjnych, rodzice i opiekunowie prawni uczniów klas III oraz VIII szkół podstawowych (ok. 3 000 osób rocznie) w zakresie działań informacyjno-edukacyjnych, oraz nauczyciele (100 osób rocznie) w zakresie działań informacyjno-edukacyjnych. Planowana interwencja obejmuje działania informacyjno-edukacyjne w postaci filmu edukacyjnego, e-dziennika, kampanii w mediach społecznościowych, papierowych ulotek i plakatów, oraz badania przesiewowe wzroku, w tym badanie ostrości wzroku z użyciem tablic Snellena do dali i bliży, ocena położenia gałek ocznych, ocena widzenia barw.

Oszacowane koszty jednostkowe obejmują: koszt badania przesiewowego w wysokości 70 zł oraz koszty pośrednie w wysokości 20 000 zł (obejmujące koszty kampanii informacyjno-edukacyjnej, materiałów edukacyjnych, filmu edukacyjnego, administracyjno-organizacyjne, monitorowania i ewaluacji). Źródła finansowania stanowi Powiat Leszczyński.

Wnioskodawca prawidłowo opisał problem zdrowotny oraz przedstawił dane Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) oraz dane krajowe na podstawie GUS.

W projekcie odniesiono się do Map Potrzeb Zdrowotnych na lata 2022-2026 (MPZ). Podkreślono, że choroby oka i jego przydatków w 2021 r. w województwie wielkopolskim znajdowały się na szóstym miejscu pod względem udzielonych porad w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, w populacji poniżej 18 r.ż. Odnotowano 64 616 porad, w tym 41 863 porad w zakresie zaburzeń refrakcji i akomodacji, 9 357 porad związanych z upośledzeniem widzenia oraz 5 757 porad w przypadku innej postaci zezu. Warto zauważyć, że w ramach MPZ dostępne są również nowsze dane, pochodzące z Bazy Analiz Systemowych i Wdrożeniowych (BASiW), które wskazują, że w 2024 roku w ramach poradni okulistycznych dla dzieci, przeprowadzono 19 621 porad ukierunkowanych na zaburzenia refrakcji i akomodacji, 1 678 porad ukierunkowanych na upośledzenie widzenia oraz 1 376 porad w przypadku innych postaci zezu. Łącznie, w ramach omawianej poradni, przeprowadzono 26 682 porad ukierunkowanych na choroby oka i jego przydatków. Warto podkreślić, że zgodnie z informacjami zawartymi w MPZ na lata 2027-2031 w przypadku województwa wielkopolskiego nie odniesiono się do rekomendowanych kierunków działań w zakresie przedmiotowego problemu zdrowotnego.

Wnioskodawca przedstawił referencje bibliograficzne i wykaz piśmiennictwa na podstawie którego opracowano projekt programu.

Uzasadnienie dla proponowanego programu stanowią wytyczne Polskiego Towarzystwa Okulistycznego i Polskiego Towarzystwa Pediatrycznego. Warto zauważyć, że we wspomnianym obowiązującym stanowisku PTO/PTP 2020 towarzystwa wskazują harmonogram badań przesiewowych badań okulistycznych u dzieci. Zgodnie z rekomendowanym harmonogramem IV. badanie przesiewowe należy przeprowadzić po ukończeniu 6. roku życia, nie później niż do ukończenia 7. roku życia wykonując badanie ostrości wzroku, test naprzemiennego zakrywania/odkrywania oczu oraz ocenę widzenia barw. Natomiast V. badanie przesiewowe należy przeprowadzić po ukończeniu 12. roku życia, nie później niż do ukończenia 13. roku życia wykonując badanie ostrości wzroku oraz ocenę widzenia barw. Biorąc pod uwagę powyższe, zaplanowane badania przesiewowe zostały wybrane przez wnioskodawcę prawidłowo, jednakże zaplanowany w programie wiek populacji docelowej (9-10 lat i 14-15 lat) nie znajduje odzwierciedlenia w polskich wytycznych dla harmonogramu IV. i V. przesiewowego badania okulistycznego u dzieci. Należy również zauważyć, że badania przesiewowe w kierunku wad wzroku znajdują się w wykazie świadczeń gwarantowanych z zakresu podstawowej opieki zdrowotnej realizowanych przez lekarzy i pielęgniarki POZ oraz pielęgniarki/higienistki szkolne. Porada okulistyczna dla dzieci, w ramach której mogą być wykonane inne testy przesiewowe znajduje się w wykazie świadczeń gwarantowanych

z zakresu AOS. W mieście Leszno funkcjonuje 1 podmiot leczniczy realizujące umowę z NFZ na świadczenia w zakresie okulistyki dla dzieci. Należy podkreślić, że zaproponowane w PPZ badania diagnostyczne nie wykraczają poza zakres świadczeń gwarantowanych.

Projekt programu zakłada przeprowadzenie jego monitorowania i ewaluacji.

Główne argumenty decyzji:

Projekt wymaga poprawy zgodnie z uwagami zamieszczonymi w raporcie analitycznym, w szczególności w zakresie:

- *celu głównego,*
- *formy weryfikacji wiedzy,*
- *mierników efektywności,*
- *wieku populacji docelowej badań przesiewowych,*
- *działań edukacyjnych,*
- *budżetu.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 48a ust. 8 pkt 3, w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 3 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461), z uwzględnieniem raportu „Program polityki zdrowotnej z zakresu wczesnego wykrywania wad wzroku u dzieci z powiatu leszczyńskiego” realizowany przez: Powiat Leszczyński; data ukończenia: sierpień 2026 r. oraz Aneksu „Programy z zakresu profilaktyki i korekcji wad wzroku oraz chorób oczu u dzieci – wspólne podstawy oceny” z czerwca 2022 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 124/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
pemetreksed w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania,
lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce
Produktu Leczniczego tj. zróżnicowany rak tarczycy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną pemetreksed, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. zróżnicowany rak tarczycy (brodawkowaty, pęcherzykowy lub onkocytny) z opornością na jod promieniotwórczy w skojarzeniu z karboplatiną w chorobie zaawansowanej: – progresja choroby po uprzedniej terapii z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych w I i II linii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem oceny Rady jest zasadności objęcia refundacją ze środków publicznych leków zawierających substancje czynne:

- *pemetreksed;*

w zakresie wskazań do stosowania odmiennego niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, tj.:

- *zróżnicowany rak tarczycy (brodawkowaty, pęcherzykowy lub onkocytny) z opornością na jod promieniotwórczy w skojarzeniu z karboplatiną w chorobie zaawansowanej: – progresja choroby po uprzedniej terapii z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych w I i II linii. Poprzednia opinia RP i odniesienie się do jej uzasadnienia (w folderze poprzednie opinie/poprzednie materiały). Rak tarczycy jest nowotworem złośliwym wywodzącym się najczęściej z komórek pęcherzykowych tarczycy lub znacznie rzadziej (~5%) z komórek C (okołopęcherzykowych, wytwarzających kalcytoninę).*

Objawy choroby nie są charakterystyczne, a przebieg naturalny zależy od typu histologicznego raka. Wzrost raków zróżnicowanych (DTC, ang. differentiated thyroid carcinoma) jest zazwyczaj wolny, rzadko stwierdza się szybki wzrost guzka, jego wzmożoną konsystencję, nieprzesuwalność względem podłoża lub chrypkę (objaw naciekania nerwu krtaniowego wstecznego). Gwałtowny,

widoczny w badaniu przedmiotowym wzrost guzka, z rozległym naciekaniem otaczających struktur, jest jednym z najbardziej charakterystycznych objawów anaplastycznej postaci – ATC (niezróżnicowanego raka tarczycy). Rokowanie w rakach zróżnicowanych tarczycy jest na ogół bardzo dobre, wyraźnie lepsze u chorych młodszych (rozpoznanie raka <55. r.ż.). Ryzyko wznowy po przebytych leczeniu jest największe w ciągu pierwszych 5 lat, jednak należy się z nim liczyć przez całe życie, dlatego chorzy mogą wymagać stałej kontroli w ośrodku leczącym, w późniejszym okresie co 5–10 lat.

Obecnie stosuje się ciągłą stratyfikację ryzyka, opartą na odpowiedzi na zastosowane leczenie. Zastosowanie inhibitorów kinaz tyrozynowych (TKI) wydłuża czas do progresji choroby.

To połączenie w tym wskazaniu nie było dotychczas przedmiotem oceny Rady.

Dowody naukowe

Przeanalizowano dwa retrospektywne badania obserwacyjne rzeczywistej praktyki klinicznej – Lee 2024 i Boucai 2026.

W badaniu Lee 2024 korzyść kliniczną, definiowaną jako częściowa odpowiedź (PR) lub stabilizacja choroby (SD), uzyskano u 64% pacjentów z rakiem tarczycy oraz u 75% chorych ze zróżnicowanym rakiem tarczycy (DTC). Mediana PFS w populacji DTC wyniosła 29 miesięcy, wobec 13,8 miesiąca w całej kohorcie.

W badaniu Boucai 2026, obejmującym chorych leczonych pemetreksedem (PEM) w monoterapii lub w skojarzeniu z karboplatyną (Cb), wyniki były korzystniejsze u pacjentów z nowotworami innymi niż anaplastyczny rak tarczycy (ATC). W tej grupie odsetek PR wyniósł 45%, a korzyści klinicznej (PR/SD) 64%, wobec odpowiednio 9% i 36% w ATC. Mediana PFS w całej populacji wyniosła 148 dni, natomiast była istotnie dłuższa u pacjentów z nowotworami innymi niż ATC niż w ATC (375 vs 32 dni; $p=0,0064$).

Profil bezpieczeństwa PEM±Cb oceniono jako względnie korzystny. Najczęściej obserwowano mielosupresję, niedokrwistość i leukopenię, a przerwanie leczenia z powodu działań niepożądanych było rzadkie. U części chorych możliwe było stosowanie dobrze tolerowanej terapii podtrzymującej pemetreksedem. Jest to zgodne z profilem bezpieczeństwa opisanym w ChPL Pemetrexed Accord, w którym do najczęstszych działań niepożądanych należą zaburzenia hematologiczne oraz toksyczność ze strony przewodu pokarmowego i błon śluzowych.

Dostępne dane wskazują, że pemetreksed z karboplatyną może stanowić potencjalną opcję ratunkową u pacjentów z zaawansowanym, opornym na leczenie DTC, szczególnie po niepowodzeniu terapii ukierunkowanych molekularnie. Siła tych wniosków jest jednak ograniczona, ponieważ dane pochodzą wyłącznie z niewielkich badań retrospektywnych RWE, obejmujących

również stosowanie PEM w monoterapii, bez potwierdzenia skuteczności skojarzenia PEM+Cb w badaniach o wyższej wiarygodności.

Wytyczne NCCN z 2026 zawierają bezpośrednie odniesienie do schematu karboplatyna–pemetreksed w leczeniu zróżnicowanego raka tarczycy opornego na leczenie jodem promieniotwórczym. Wytyczne NCCN 2026 wskazują ten schemat jako „opcję przydatną w wybranych sytuacjach klinicznych” – u chorych z progresją choroby po wcześniejszym leczeniu. Z kolei wytyczne ASCO 2026 wskazują, że u chorych z progresją po terapiach ukierunkowanych molekularnie i inhibitorach wielokinazowych można rozważyć chemioterapię cytotoksyczną, jednak zalecenie to oparto na dowodach niskiej jakości i nadano mu warunkową siłę rekomendacji. Zarówno wytyczne NIO 2022, jak i ESMO 2022 nie odnoszą się do możliwości stosowania pemetreksedu w skojarzeniu z karboplatyną. Wytyczne NIO 2022 wskazują jedynie na brak udokumentowanych naukowo wskazań do chemioterapii w zróżnicowanym raku tarczycy.

Główne argumenty decyzji:

- Brak opcji terapeutycznych po uprzedniej terapii z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych w I i II linii leczenia;
- Postępowanie zalecane w niektórych wytycznych;
- Obiecujące wyniki z praktyki klinicznej oparte jednak na małych grupach pacjentów;
- Niski koszt terapii.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 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: DRTM.415.3.2026 „Pemetreksed we wskazaniu: zróżnicowany rak tarczycy (brodawkowaty, pęcherzykowy lub onkocytny) z opornością na jod promieniotwórczy w skojarzeniu z karboplatyną w chorobie zaawansowanej: progresja choroby po uprzedniej terapii z zastosowaniem inhibitorów kinaz tyrozynowych w I i II linii”; data ukończenia: 19 sierpnia 2026 r.



Opinia Rady Przejrzystości
nr 125/2026 z dnia 24 sierpnia 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną
toksyna botulinowa typu A (produkt leczniczy Xeomin) w zakresie
wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania
odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego
tj. dystonia krtaniowa oraz dystonia twarzy

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją leków zawierających substancję czynną toksyna botulinową typu A (produkt leczniczy Xeomin), w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego tj. „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w ramach programu lekowego B.28. „Leczenie dystonii ogniskowych i połówiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)”.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia jest ocena zasadności objęcia refundacją produktu leczniczego Xeomin (toksyna botulinowa typu A) we wskazaniach pozarejestacyjnych „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w programie lekowym B.28 Leczenie dystonii ogniskowych i połówiczego kurczu.

Dystonia krtaniowa (ang. laryngeal dystonia, LD) lub dysfonia spastyczna (ang. spasmodic dysphonia) to schorzenie neurologiczne wpływające na głos i mowę. Zaburzenie dotyczy aferentnej i eferentnej kontroli mięśni krtani podczas fonacji. Dystonię ustno-żuchwową lub oromandibularną (OMD) (ang. oromandibular dystonia), obok kurczu powiek i dystonii krtaniowo-gardłowej, zalicza się do grupy dystonii twarzowych. Jest to rzadkie zaburzenie neurologiczne objawiające się mimowolnymi, nadmiernymi skurczami mięśni w obrębie ust, żuchwy, języka i/lub dolnej części twarzy; może mieć istotny wpływ na mowę, funkcje żucia i połykania, a czasem również na wyraz twarzy.

Wszystkie trzy dostępne w Polsce preparaty toksyny botulinowej typu A, tzn. Botox (onabotulinumtoxinA), Dysport (abobotulinumtoxinA) oraz Xeomin (incobotulinumtoxinA), mają ten sam mechanizm działania – działają poprzez blokowanie uwalniania acetylocholino. Preparaty te różnią się budową, zawartością białek, immunogennością oraz sposobem oznaczania aktywności.

Preparat Xeomin zawiera wyłącznie oczyszczoną neurotoksynę bez białek kompleksujących, co może wiązać się z mniejszym ryzykiem powstawania przeciwciał neutralizujących.

Produkt leczniczy Xeomin (Botulinum A toxin a 100 j.) jest już refundowany w programie lekowym B.28 we wskazaniach: kręcz karku, kurcz powiek, połowiczy kurcz twarzy, dystonie zadaniowe (np. kurcz pisarski, kurcze zawodowe). Pozostałe preparaty zawierające toksynę botulinową typu A refundowane w programie B.28, tj. Dysport (abobotulinumtoxinA) i Botox (onabotulinumtoxinA) oprócz wyżej wymienionych wskazań, refundowane są również we wskazaniach dystonia krtaniowa i dystonia twarzy.

Dowody naukowe

Biorąc pod uwagę wskazania, w których produkt leczniczy Xeomin jest już refundowany, w oparciu o wytyczne kliniczne przyjęto, że zlecenie w zakresie „dystonii twarzy” dotyczy dystonii ustno-żuchwowych.

Do analizy włączono cztery badania dotyczące stosowania toksyny botulinowej typu A w ocenianych wskazaniach. Tylko badanie Kohli 2022 bezpośrednio oceniało skuteczność i bezpieczeństwo incobotulinumtoxinA (Xeomin) u pacjentów z dystonią krtaniową przywodzicieli. Pozostałe badania obejmowały pacjentów leczonych toksyną botulinową typu A z powodu dystonii krtaniowej lub ustno-żuchwowej, jednak nie przedstawiono w nich odrębnych wyników dla incobotulinumtoxinA.

Prospektywne badanie Kohli 2022 obejmowało 16 pacjentów z dystonią krtaniową przywodzicieli. Do analizy końcowej włączono 9 chorych. W całej analizowanej populacji po leczeniu odnotowano zmniejszenie średniego wyniku Voice Handicap Index-10 (VHI-10) z 23,1 do 16,3 pkt oraz wzrost odsetka prawidłowej funkcji głosowej (PNF) z 66,1% do 89,4%, przy czym istotność statystyczną wykazano jedynie dla poprawy PNF ($p=0,04$). W podgrupie pacjentów z wtórnym brakiem odpowiedzi na wcześniejsze leczenie onabotulinotxinA średni PNF wzrósł z 37,5% do 90% ($p=0,0005$).

W badaniu Schneider-Stickler 2026 analizą objęto 39/41 pacjentów z dystonią krtaniową. Po miesiącu od podania toksyny botulinowej typu A (Xeomin otrzymało 25,6% pacjentów) stwierdzono istotne zmniejszenie liczby skurczów głosowych z 50,7 do 9,9 ($p<0,001$), nasilenia napięcia głosu z 7 do 2 pkt ($p<0,001$) oraz wysiłku fonacyjnego z 7,5 do 4,1 pkt ($p<0,001$). Wynik VHI-9i obniżył się z 23,5 do 14,7 pkt ($p<0,001$), a wynik kwestionariusza oceny uczestnictwa komunikacyjnego (CPIB) wzrósł z 12,3 do 21,0 pkt ($p<0,001$), wskazując na poprawę niepełnosprawności głosowej i uczestnictwa komunikacyjnego. Istotną poprawę odnotowano również dla wskaźnika jitter (12,9% vs 5,5%; $p=0,002$), wskaźnika nasilenia dysfonii DSI (-10,5 vs -3,6; $p=0,003$) oraz szorstkości głosu ($p=0,047$).

Prospektywne badanie Page 2017 objęło 10 pacjentów z dystonią ustno-żuchwową i współistniejącą dyzartrią. W porównaniu z osobami zdrowymi chorzy uzyskiwali istotnie gorsze wyniki jakości życia związanej z komunikacją; średni całkowity wynik ASHA QCL wynosił 4,17 vs 4,88 pkt w grupie kontrolnej ($p=0,001$). Nie wykazano istotnych zmian jakości życia po podaniu toksyny botulinowej typu A (Botox lub Xeomin). Całkowity wynik ASHA QCL wynosił 4,28 pkt przed leczeniem i 4,17 pkt po leczeniu ($p=0,347$); podobnie nie stwierdzono istotnych zmian w zakresie ogólnej jakości życia ani poszczególnych domen kwestionariusza.

Badanie Revuelta 2025 to retrospektywna analiza 6 pacjentów z dystonią języka, stanowiącą podtyp dystonii ustno-żuchwowej. Mediana subiektywnej poprawy po leczeniu onabotulinotoxinA lub incobotulinotoxinA wynosiła 60% (Q1-Q3: 12,5%-70%), natomiast mediana czasu utrzymywania się efektu terapeutycznego 1,5 miesiąca (Q1-Q3: 0-2,5 miesiąca).

Działania niepożądane występują zwykle w pierwszym tygodniu po podaniu i mają charakter przemijający. Mogą być związane zarówno z procedurą wstrzyknięcia (m.in. ból, obrzęk, rumień, krwaki, krwawienie), jak i farmakologicznym działaniem toksyny botulinowej typu A, prowadzącym do miejscowego osłabienia mięśni.

Ograniczeniami analizy klinicznej są przede wszystkim jednoramienny i obserwacyjny charakter większości badań oraz niewielka liczebność analizowanych populacji. Należy jednak podkreślić, że oceniane wskazania należą do wskazań ultrazadkowych.

Wszystkie odnalezione wytyczne (Manual of botulinum toxin therapy 2024, konsensus Dressler 2021, Dystonia Society 2017, Krasnodębska 2025, AAO-HSN 2018, AAOM 2018) są zgodne co do tego, że toksyna botulinowa stanowi podstawową metodę leczenia dystonii ogniskowych, w tym dystonii ustno-żuchwowej (OMD) i dystonii krtaniowej (dysfonii spastycznej). Leczenie powinno być indywidualizowane pod kątem obrazu klinicznego, zajętych mięśni oraz potrzeb pacjenta.

Analiza wpływu na budżet

W wariancie podstawowym analizy, zakładającym, że rozszerzenie wskazań refundacyjnych produktu leczniczego Xeomin spowoduje przejęcie części udziałów pozostałych produktów oraz dodatkowo wzrost populacji przyjmującej Xeomin o 5%, co daje sumarycznie wzrost liczby pacjentów leczonych produktem leczniczym Xeomin o 230 osób, generowane są dodatkowe wydatki dla NFZ wynoszące ok. 18,5 tys. PLN.

Dodatkowe informacje

Maksymalne dawki jednorazowe zaproponowane w zleceniu Ministra Zdrowia dla preparatu Xeomin w dystonii krtaniowej i dystonii twarzy są zgodne

z dawkami stosowanymi w programie lekowym B.28 w przypadku preparatu Botox. Według wytycznych klinicznych, przybliżona zależność między dawką onabotulinumtoxinA i incobotulinumtoxinA wynosi 1:1. Zatem, w przypadku zwiększenia maksymalnych dawek dopuszczalnych w programie B.28 dla produktu leczniczego Xeomin, analogiczna zmiana musiałaby też dotyczyć produktu Botox. Prawdopodobnie zweryfikowane musiałyby być też dawki dla produktu Dysport. Rada nie wnosi uwag do proponowanych dawek jednorazowych produktu leczniczego Xeomin.

Główne argumenty decyzji:

- *Złoty standard w leczeniu objawowym dystonii ogniskowych;*
- *Pozytywne rekomendacje towarzystw naukowych;*
- *Prawdopodobny brak wpływu na wydatki płatnika publicznego.*

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 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: DRTM.415.5.2026 „Xeomin (toksyna botulinowa typu A) we wskazaniu: „dystonia krtaniowa” oraz „dystonia twarzy” w ramach programu lekowego B.28 Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy (ICD-10 G 24.3, G 24.4, G 24.5, G 24.8, G 51.3)”; data ukończenia: 21.08.2026 r.