

# Nowe terapie w leczeniu chorych na nowotwory

MODERN HEALTHCARE INSTITUTE

2022

Nowe terapie w leczeniu chorych na nowotwory  
PRIORYTETY • REJESTRACJA NOWYCH LEKÓW • REFUNDACJA TERAPII • OCENA EFEKTYWNOŚCI

Projekt zrealizowano przy wsparciu firm:

AstraZeneca

Amgen

GSK

Eli Lilly

Roche

**Autorzy:**

Krzysztof Jakubiak  
Magdalena Władysiuk  
Jakub Rutkowski  
Anna Walocha  
Barbara Koziół

**Partner:**

HTA Consulting

**Wydawca:**

Modern Healthcare Institute

e-ISBN 978-83-962944-1-8



## Spis treści

Wstęp	5
1. Obciążenie społeczne z powodu chorób nowotworowych	6
2. Obciążenie finansów publicznych z powodu nowotworów	12
3. Dostęp do nowych terapii onkologicznych w Europie	13
4. Przełomowe terapie w ocenie amerykańskiej Agencji Żywności i Leków	14
4.1. Refundacja terapii uznanych przez FDA za przełomowe	16
5. Refundacja nowych leków onkologicznych w Polsce	20
5.1. Czas od rejestracji do refundacji	20
5.2. Refundacja leków onkologicznych o najwyższej wartości dodanej w skali ESMO-MCBS	26
6. Leki onkologiczne w programach lekowych	29
6.1. Programy lekowe	29
6.2. Wydatki na leki w programach lekowych	30
7. Wnioski	33
Załącznik 1	35
Załącznik 2	38



# Wstęp

Wprowadzanie nowych terapii onkologicznych jest priorytetem polityki zdrowotnej Polski. Ich sprawna i regularna refundacja pozwala na poprawę wskaźników przeżywalności polskiej populacji pacjentów. Czas upływający od rejestracji do refundacji nowych leków i rzeczywisty dostęp do terapii, zgodny ze wskazaniami rejestracyjnymi, są wskaźnikami postępu w onkologii.

Nowe leki przeznaczone do leczenia nowotworów pojawiają się w liczbie dziesięciu lub więcej rocznie. Liczba nowych rejestracji EMA jest od kilku lat podobna do liczby nowych cząsteczek obejmowanych refundacją w Polsce. O ile w latach 2017-2019 mediana tego czasu dla pozostałych grup leków była krótsza niż dla onkologicznych, to w ostatnich dwóch latach sytuacja zmieniła się na korzyść onkologii.

Ocena wartości dodanej terapii onkologicznych obecnie jest dokonywana w ramach regularnej refundacji oraz na liście leków o wysokiej innowacji, opracowywanej na podstawie ustawy o Funduszu Medycznym. Wyzwania w ocenie są przede wszystkim związane z oceną populacji pediatrycznej, gdzie relatywnie najmniej leków jest co roku refundowanych. W zakresie populacji dorosłej

nadal kluczowa jest identyfikacja potrzeb zdrowotnych, już nie w oparciu o definiowanie populacji o najwyższych potrzebach zdrowotnych, lecz stworzenie algorytmów postępowania uwzględniających całą populację chorych z danym nowotworem.

Niemal wszystkie przełomowe terapie rejestrowane przez FDA (w sumie 9 na 11) z lat 2013–2015 są aktualnie refundowane w Polsce. Spośród 13 uznanych za przełomowe przez FDA w latach 2016–2017, w Polsce refundację ma już dziewięć. Finansowana jest również zdecydowana większość leków mających najwyższe oceny w skali ESMO-MCBS.

Spośród terapii zarejestrowanych od 2018 roku, finansowaniem objęto dotychczas pojedyncze leki. Co najmniej trzyletni (mediana) czas upływający od rejestracji do refundacji jest wielkim wyzwaniem dla systemu. Utworzenie Funduszu Medycznego, z którym wiązano nadzieje na szybsze refundowanie nowych terapii o dużej wartości klinicznej, dotychczas nie wpłynęło na poprawę dostępu do leków onkologicznych.

## Obciążenie społeczne z powodu chorób nowotworowych

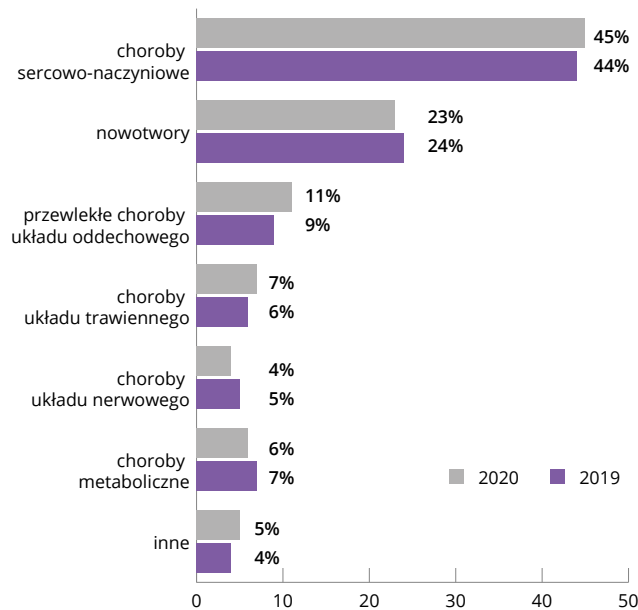
Choroby onkologiczne stanowią drugie, po chorobach układu sercowo-naczyniowego, obciążenie społeczeństwa pod względem śmiertelności, niepełnosprawności i utraty zdrowia. Zmniejszenie zapadalności oraz przedwczesnej umieralności z powodu nowotworów jest słusznie zaliczone przez ministra zdrowia do priorytetów zdrowotnych.

Liczba zgonów z powodu chorób nowotworowych zwiększa się z roku na rok. W 2000 roku na całym świecie zmarło z tego powodu 7.005.380 osób, natomiast

w 2019 roku już 10.079.637 osób, a zatem 44 proc. więcej. Jednak biorąc pod uwagę zmiany demograficzne, standaryzowana ze względu na wiek śmiertelność związana z chorobami onkologicznymi od 2000 roku spadła o 13,1 proc. Dzięki rozwojowi medycyny i profilaktyki, rokowania chorych na nowotwory poprawiają się w ujęciu globalnym. Pozytywny trend został niestety zaburzony przez pandemię Covid-19.

Polska oraz inne kraje Europy Środkowowschodniej odnotowują relatywnie wyższą śmiertelność z powodu nowotworów. W 2019 roku współczynnik śmiertel-

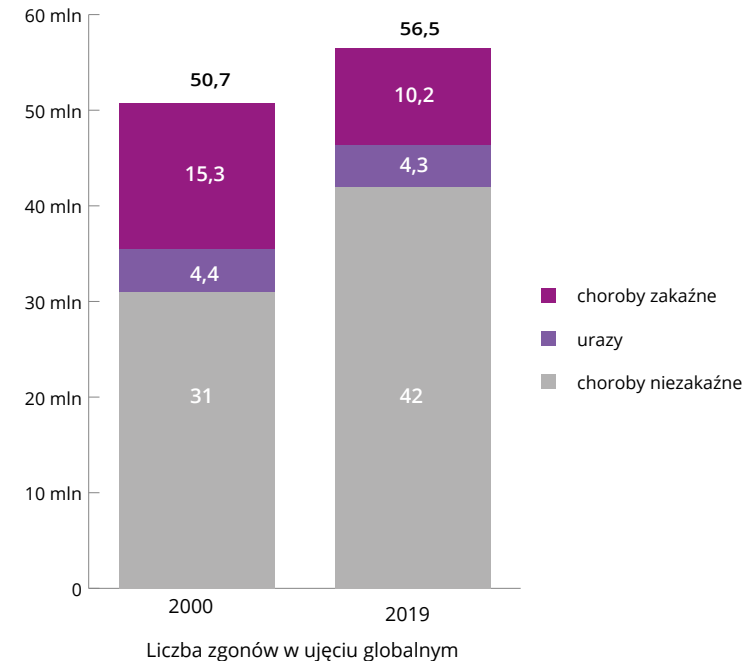
Podział zgonów z powodu chorób niezakaźnych, 2000–2019



**Wykres 1.** Liczba zgonów na świecie, 2000 i 2019

Źródło: Opracowanie własne na podstawie wyników badania „Global Burden of Disease Study 2021” [1]

Liczba zgonów według przyczyny, 2000–2019

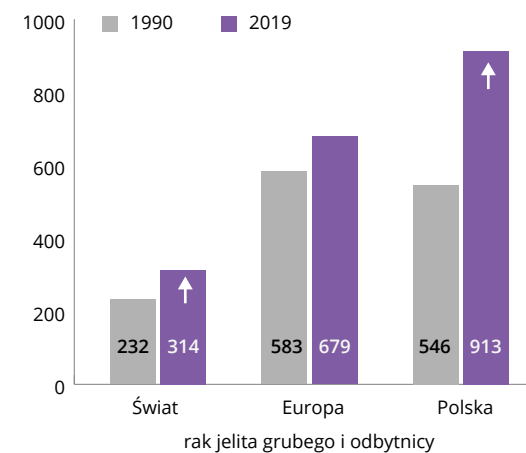
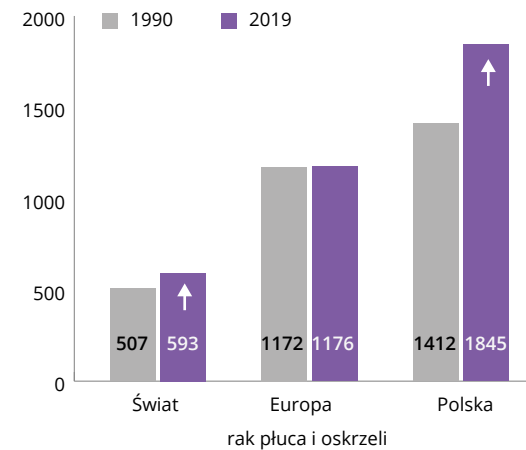


ności na choroby nowotworowe w Polsce był wyższy o 27,4 proc. niż w Europie Zachodniej. Przez 19 lat udało się nam poprawić ten wskaźnik o 11,2 proc. Postęp w terapii onkologicznej dokonuje się z różną szybkością w poszczególnych rodzajach nowotworów. Wiele chorób hematologicznych, nowotworów skóry, piersi, tarczycy czy prostaty ma pięcioletnie przeżycie wyższe niż 90 proc. Jednocześnie w wielu innych odmianach raka, m.in. trzustki, wątroby, płuca czy

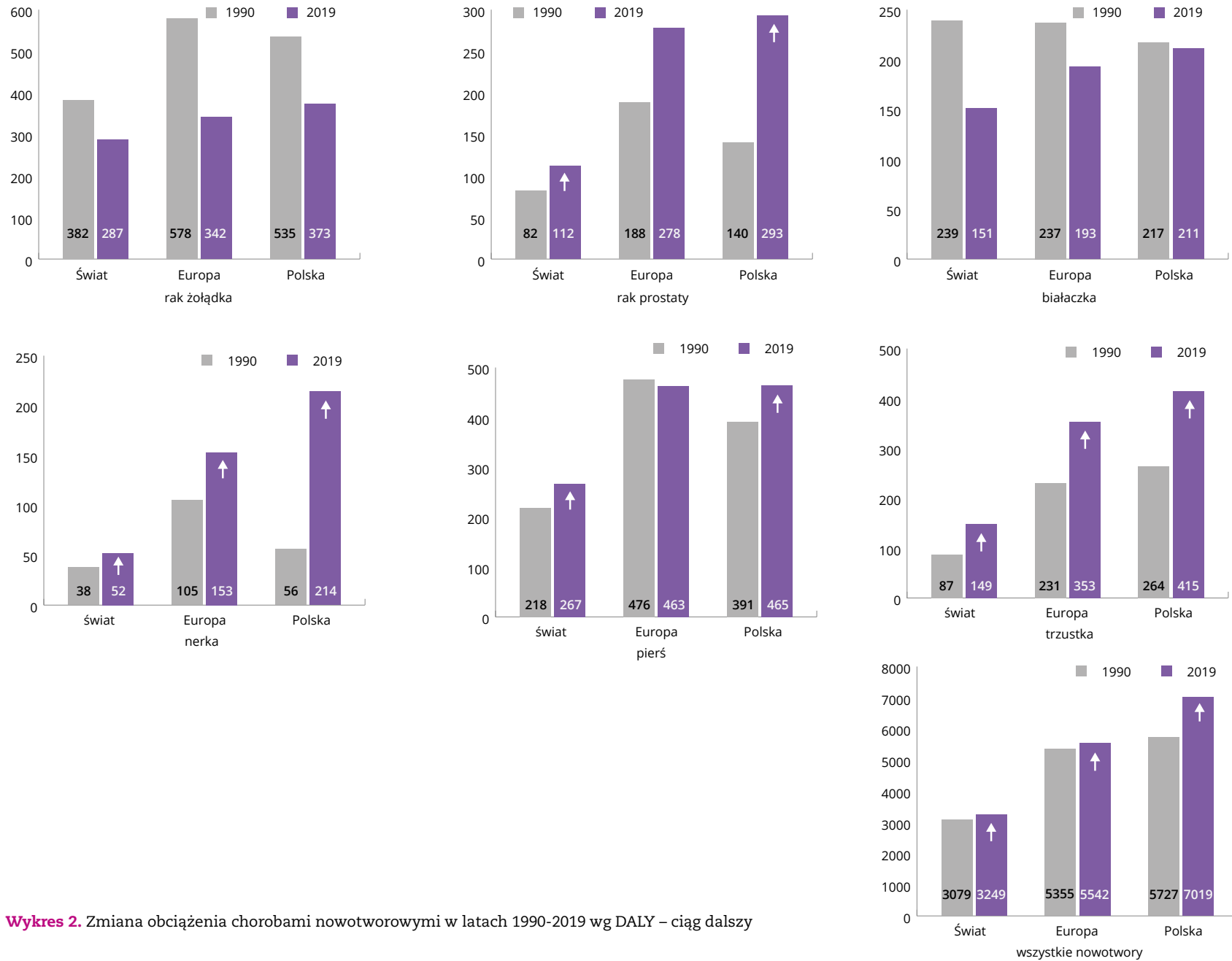
układu pokarmowego rokowania są o wiele gorsze. Rozwój naukowy i nowe terapie mają szczególne znaczenie właśnie w tych obszarach, gdzie wskaźniki pięcioletniego przeżycia są niskie. Obciążenie nowotworami w populacji polskiej, tak jak na świecie, głównie rośnie z powodu wzrostu zapadalności na niektóre nowotwory, lecz także z powodu zwiększenia się liczby osób żyjących z nowotworem oraz dłuższego czasu przeżycia.

**Tabela 1.** Zmiana obciążenia chorobami nowotworowymi w latach 1990-2019 wg DALY

	ŚWIAT		EUROPA		POLSKA	
	1990	2019	1990	2019	1990	2019
płuco i oskrzela	507	593	1172	1176	1412	1845
jelito grube i odbytница	232	314	583	679	546	913
piers	218	267	476	463	391	465
trzustka	87	149	231	353	264	415
żołądek	382	287	578	342	535	373
głowa i szyja	118	143	148	164	136	328
prostata	82	112	188	278	140	293
mózg i układ nerwowy	115	112	177	194	239	248
pęcherz	48	57	133	158	135	233
nerka	38	52	105	153	56	214
jajnik	51	69	143	148	167	213
białaczka	239	151	237	193	217	211
chłoniak	101	105	157	160	143	160
szyjka macicy	115	144	127	97	222	144
przełyk	153	151	134	139	107	138
inne	593	543	766	845	1017	826
total	3079	3249	5355	5542	5727	7019



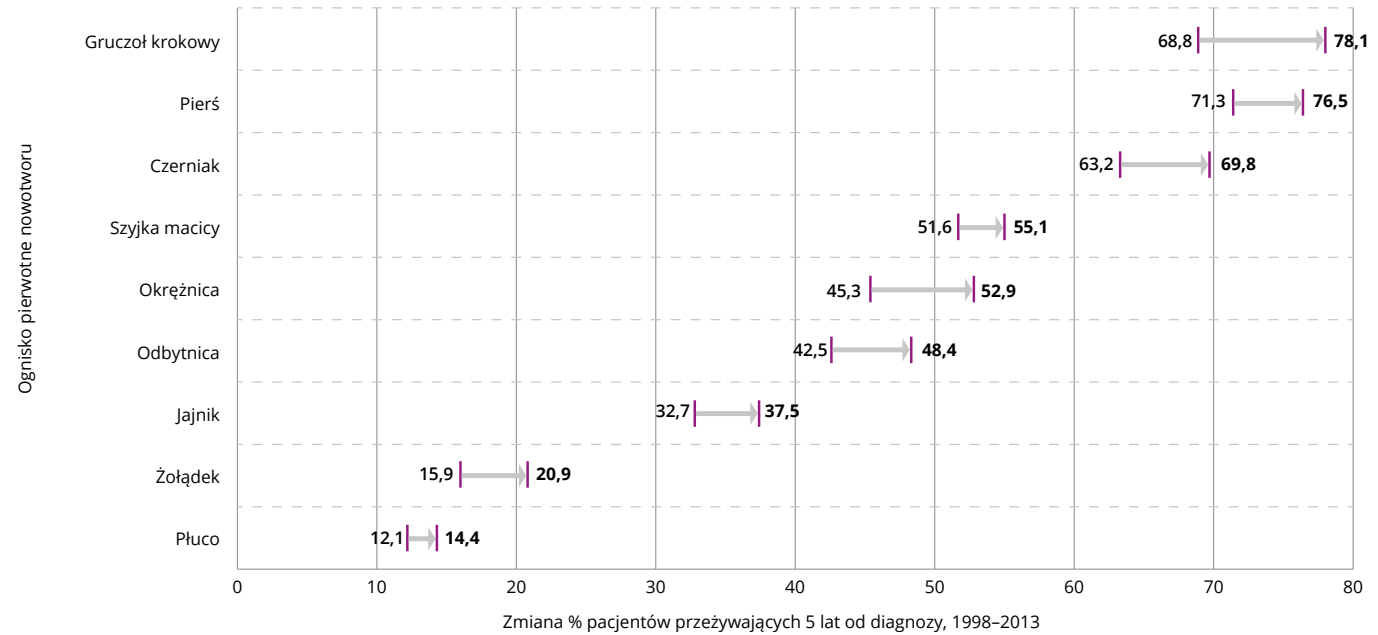
**Wykres 2.** Zmiana obciążenia chorobami nowotworowymi w latach 1990-2019 wg DALY



Wykres 2. Zmiana obciążenia chorobami nowotworowymi w latach 1990-2019 wg DALY – ciąg dalszy

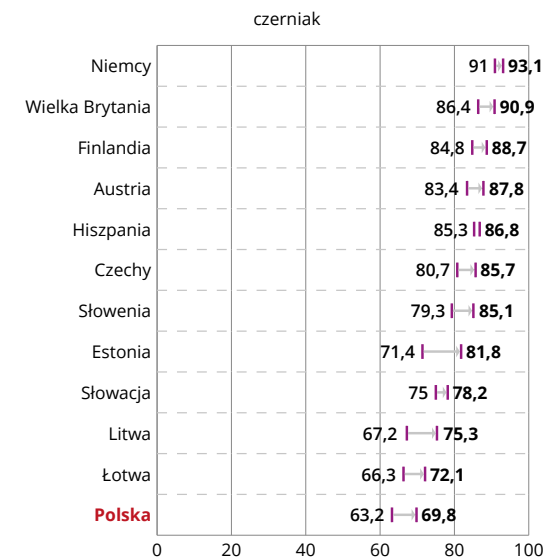
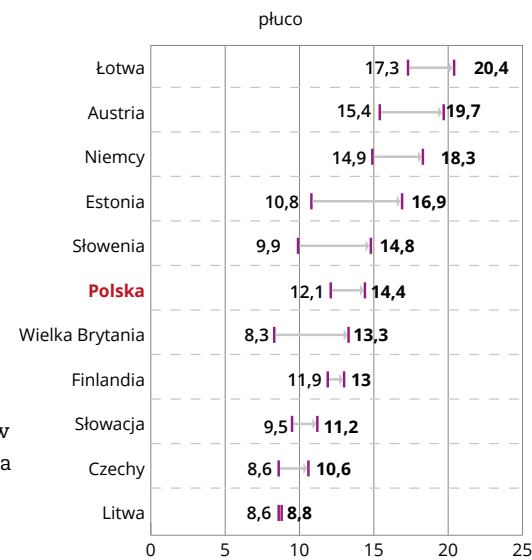


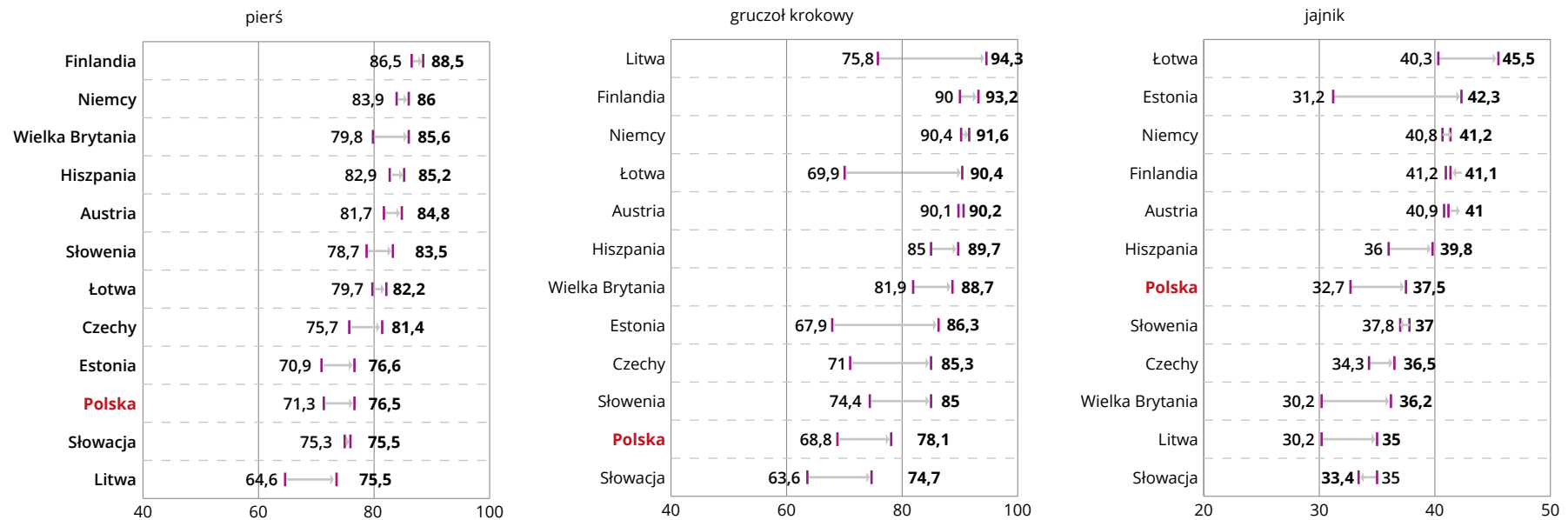
**Wykres 3.** Zmiana wskaźników przeżyć 5-letnich netto w Polsce dla wybranych nowotworów



**Wykres 4.** Wykresy porównawcze dziesięciu krajów dla wybranych 5 nowotworów – poprawa wskaźnika przeżyć 5-letnich, 1998-2013

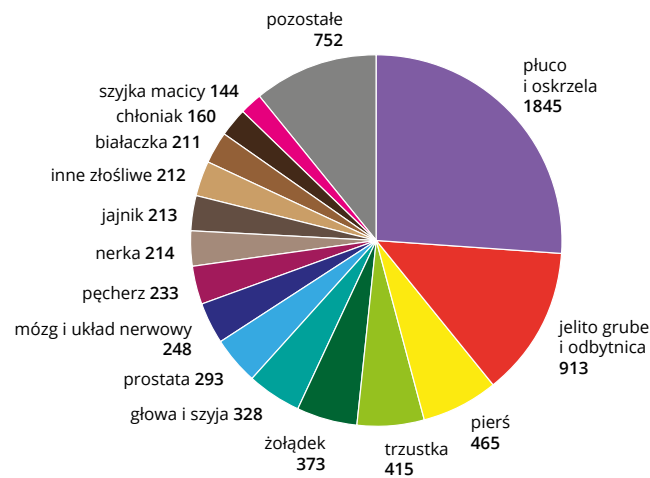
Źródło: [http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory\\_2017.pdf](http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory_2017.pdf)





Wykres 4. Wykresy porównawcze dziesięciu krajów dla wybranych 5 nowotworów – poprawa wskaźnika przeżyć 5-letnich – ciąg dalszy

Źródło: [http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory\\_2017.pdf](http://onkologia.org.pl/wp-content/uploads/Nowotwory_2017.pdf)



Wykres 5. Współczynnik DALY

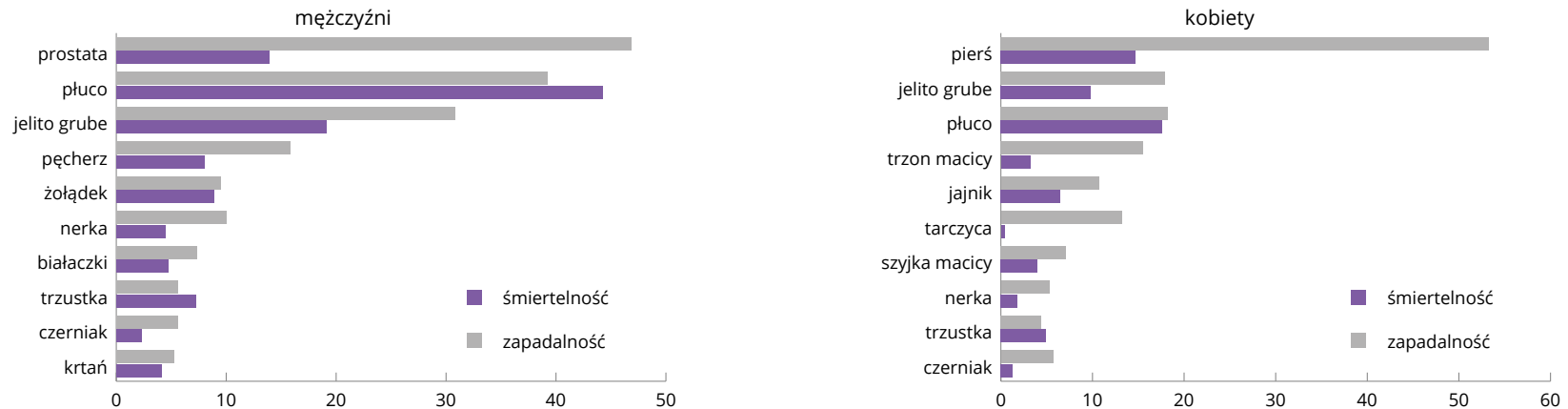
na 100 000 mieszkańców Polski w związku z chorobami nowotworowymi 2019

Źródło: Opracowanie własne na podstawie wyników badania „Global Burden of Disease Study 2019”

Poszczególne rodzaje choroby nowotworowej występują za zróżnicowaną częstotliwością. Najwięcej nowych rozpoznań u kobiet w Polsce dotyczy nowotworu piersi – 53,3 zachorowań na 100 tys. Mężczyźni najczęściej zapadają na raka prostaty – 46,8 zachorowań na 100 tys. Śmiertelność związana z tymi najczęstszymi chorobami jest dosyć niska i wynosi odpowiednio 14,7 na 100 tys. kobiet oraz 13,9 na 100 tys. mężczyzn. Znacznie gorsze rokowania mają chorzy z nowotworem o największej zapadalności w całej polskiej populacji, czyli raka płuca i oskrzeli. W 2018 roku zdiagnozowano go u 21,2 tys. osób; w raku piersi nowych zachorowań było ok. 19 tys. a w raku prostaty – 16,4 tys.).

W 2019 roku obciążenie polskiego społeczeństwa z powodu chorób nowotworowych wyniosło ogółem 7019 DALY, przy czym 26,3 proc. stanowiło obciążenie z powodu raka płuca i oskrzeli.

Obciążenie chorobami nowotworowymi w Polsce jest znacznie wyższe niż w całej Europie i na świecie. Co gorsze, obciążenie to wzrosło w latach 1990-2019



**Wykres 6.** Zapadalność i śmiertelność w związku z chorobami nowotworowymi w Polsce w 2018 roku w podziale na płeć, z uwzględnieniem standaryzacji ze względu na wiek (liczba przypadków na 100.000 osób)

Źródło: Opracowanie własne na podstawie raportu Wojciechowska U, Didkowska J, Michałek I, Olasek P, Ciuba A, Nowotwory Złośliwe w Polsce w 2018 roku, Krajowy Rejestr Nowotworów, Warszawa 2020

o 1292 DALY, czyli 22,5 proc. W tym samym czasie na świecie obciążenie nowotworami na świecie wzrosło o 5,5 proc. a w Europie jedynie o 3,5 proc.

Pod względem współczynnika DALY sytuacja w Polsce najmocniej pogorszyła się w odniesieniu do raka nerki (wzrost o 282 proc.), nowotworów głowy i szyi (wzrost o 141 proc.) oraz raka prostaty (wzrost obciążenia o 109 proc.).

W nowotworach, które są największym obciążeniem, także odnotowano trend negatywny: raka płuca i oskrzeli – 31 proc. wzrostu obciążenia, rak jelita grubego i odbytnicy – wzrost o 67 proc., rak piersi – wzrost o 19 proc., trzustka – wzrost obciążenia aż o 157 proc. Jedynie w przypadku kilku nowotworów obciążenie w Polsce zmniejszyło się – w raku żołądka, szyjki macicy oraz w białaczkach.

## Obciążenie finansów publicznych z powodu nowotworów

Wydatki na leczenie nowotworów stanowią 11,4 proc. całkowitego budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia. W Polityce Lekowej Państwa oraz w założeniach ustawy o Funduszu Medycznym poszerzenie dostępu do terapii onkologicznych zostało zaliczone do priorytetów polityki refundacyjnej. Znajduje to odzwierciedlenie w decyzjach podejmowanych przez ministra zdrowia.

W ostatnich dwóch latach, niewątpliwie z powodu zaburzeń w systemie ochrony zdrowia spowodowanych przez pandemię Covid-19, w tym także z powodu ograniczeń dostępu do świadczeń medycznych, poziom wydatków na leczenie nowotworów nieznacznie zmalał. Jedynym wyjątkiem były nakłady na programy lekowe. Narodowy Fundusz Zdrowia w latach 2020-2021 wydał na finansowanie świadczeń związanych z leczeniem nowotworów mniej niż planowano.

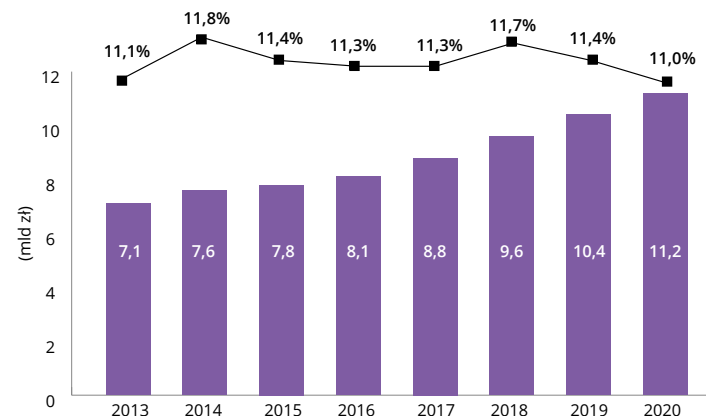
**Tabela 2.** Wydatki Narodowego Funduszu Zdrowia na świadczenia 2019-2021 (zł)\*

Wydatki NFZ	2019	2020	2021 (t-IX)
Ambulatoryjne świadczenia specjalistyczne	866 379 000	630 830 000	486 100 000
Leczenie szpitalne – oddziały	3 855 519 000	3 529 910 000	2 407 940 000
Leczenie szpitalne – programy lekowe	2 323 808 000	2 876 510 000	2 130 810 000
Leczenie szpitalne – chemioterapia	1 507 003 000	1 346 950 000	854 940 000
Leczenie szpitalne – radioterapia	1 232 756 000	1 158 400 000	697 050 000
<b>Razem</b>	<b>9 785 465 000</b>	<b>9 542 600 000</b>	<b>6 576 840 000</b>

źródło: NFZ

\* W powyższej tabeli jako wydatki na onkologię przyjęto sfinansowanie świadczeń spełniających przynajmniej jeden z następujących warunków:

- świadczenia sprawozdane z rozpoznaniem głównym z zakresu C00-D09 i 37-D48 według międzynarodowej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych Rewizja dziesiąta (ICD-10),
- świadczenia zrealizowane na podstawie karty diagnostyki i leczenia onkologicznego w ramach tzw. pakietu onkologicznego,
- świadczenia zrealizowane w ramach zakresów świadczeń: onkologii klinicznej, chirurgii onkologicznej, ginekologii onkologicznej i hematologii, wraz z odpowiednimi zakresami dziecięcymi,
- świadczenia chemioterapii,
- świadczenia radioterapii,
- świadczenia w ramach programów lekowych związanych z leczeniem onkologicznym.



**Wykres 7.** Wydatki na onkologię a plan finansowy NFZ, 2013–2020

Źródło: Opracowanie NFZ p.t.: „Wydatki na onkologię 2013-2018”, [24]. Plany finansowe NFZ za lata 2013–2020, stan na 29 listopada 2021, [25]. Wydatki na onkologię w latach 2019–2020 są prognozą NFZ.

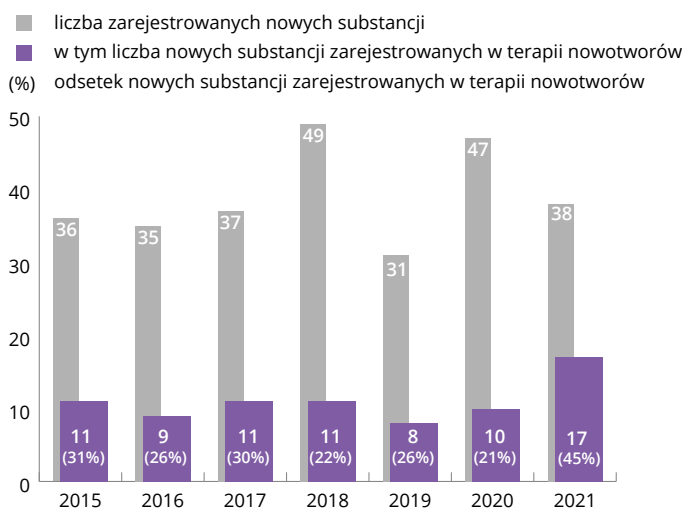
Rozdział 3.

## Dostęp do nowych terapii onkologicznych w Europie

Leki przeciwnowotworowe stanowią rosnącą i znaczną część nowych leków dopuszczanych do obrotu przez Europejską Agencję Leków oraz amerykańską Agencję ds. Żywności i Leków.

Nowe substancje czynne do leczenia nowotworów zarejestrowane przez Europejską Agencję Leków w latach 2015-2021 dotyczyły kilkunastu rodzajów choroby nowotworowej. Najwięcej nowych leków miało wskazania w terapii nowotworów płuc i piersi, a także białaczki i szpiczaka plazmocytowego.

Europejska Agencja Leków rejestruje zwykle mniejszą liczbę nowych leków niż amerykańska FDA. W latach 2015-2021 różnica w liczbie nowych leków onkologicznych wyniosła ponad 20 proc. – 94 rejestracje FDA przy 77 rejestracjach EMA.



Wykres 8. Liczba nowych substancji EMA w latach 2015-2021

Źródło: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes>

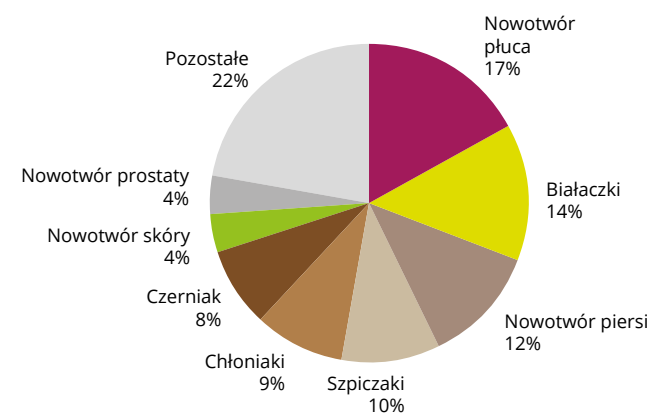
Tabela 3. Liczba zatwierdzonych produktów leczniczych

Rodzaj nowotworu	Liczba produktów
Nowotwór płuca	13
Białaczki	11
Nowotwór piersi	9
Szpiczaki	8
Chłoniaki	7
Czerniak	6
Nowotwór skóry	3
Nowotwór prostaty	3
Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego	3
pozostałe	14

Źródło: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes>

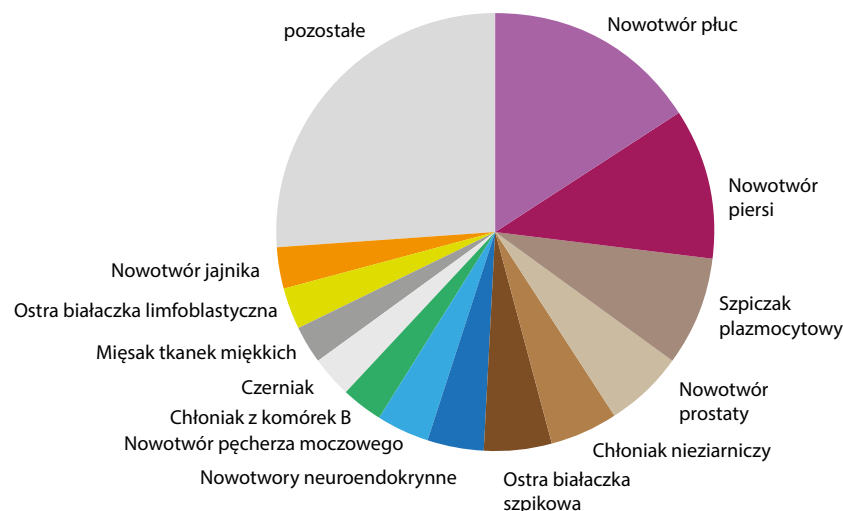
Wykres 9. Liczba nowych substancji w latach 2015-2021

Źródło: <https://www.ema.europa.eu/en/about-us/annual-reports-work-programmes>



## Przełomowe terapie w ocenie amerykańskiej Agencji Żywności i Leków

W latach 2015-2021 w USA dopuszczono do obrotu w sumie 95 nowych produktów leczniczych stosowanych w terapii nowotworów. Spośród nich 65 miało wskazania do leczenia guzów litych a 30 produktów miało wskazania do leczenia nowotworów krwi.



**Wykres 10.** Udział poszczególnych wskazań w wprowadzonych do obrotu nowych produktów leczniczych w terapii nowotworów w latach 2015–2021, wg FDA

Źródło: FDA

**Tabela 4.** Udział poszczególnych wskazań wprowadzonych do obrotu nowych produktów leczniczych w terapii nowotworów w latach 2015–2021, wg FDA

Rodzaj nowotworu	Liczba zatwierdzonych produktów leczniczych
Nowotwór płuc	16
Nowotwór piersi	11
Szpiczak plazmocytowy	8
Nowotwór prostaty	6
Chłoniak nieziarniczy	5
Ostra białaczka szpikowa	5
Nowotwory neuroendokrynne	4
Nowotwór pęcherza moczowego	4
Chłoniak z komórek B	3
Czerniak	3
Mięsak tkanek miękkich	3
Ostra białaczka limfoblastyczna	3
Nowotwór jajnika	3
pozostałe	26

Nowe substancje czynne są dopuszczane do stosowania w USA zwykle szybciej niż w Europie. W procesie rejestracji FDA dokonuje także wstępnej oceny stopnia innowacyjności nowych terapii, które mogą otrzymać status pierwszej w swojej klasie (*first-in-class*) lub terapii przełomowej (*breakthrough therapy*).

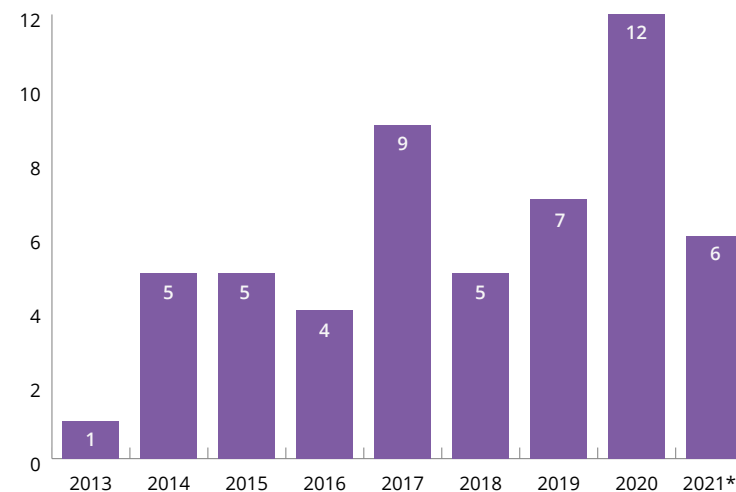
**Tabela 5.** Nowo zarejestrowane leki stosowane w leczeniu nowotworów uznane przez FDA za przełomowe i pierwsze w swojej klasie

	breakthrough	first-in-class	razem*
2013	1	4	4
2014	5	4	6
2015	5	3	5
2016	4 (1 został wycofany)	1	3
2017	9	3 (1 został wycofany)	9
2018	5	5 (1 został wycofany)	6
2019	7	5	8
2020	12	5	13
2021**	6		6

\* Niektóre leki zostały uznane jednocześnie za przełomowe i pierwsze w swojej klasie

\*\* Za 2021 rok wstępne dane

W latach 2013–2021 FDA uznało za przełomowe 54 nowe terapie onkologiczne, przy czym jedna została następnie wycofana. Liczba nowych terapii onkologicznych uznawanych przez FDA za przełomowe od 2017 roku jest znacznie większa niż w latach poprzednich.



**Wykres 11.** Liczba leków onkologicznych uznawanych za przełomowe przez FDA w latach 2013-2021

\*\* Za 2021 rok wstępne dane

#### 4.1. Refundacja terapii uznanych przez FDA za przełomowe

Nowe terapie onkologiczne, które FDA uznaje za przełomowe, są w zdecydowanej większości obejmowane refundacją w Polsce, ale dzieje się to z istotnym opóźnieniem.

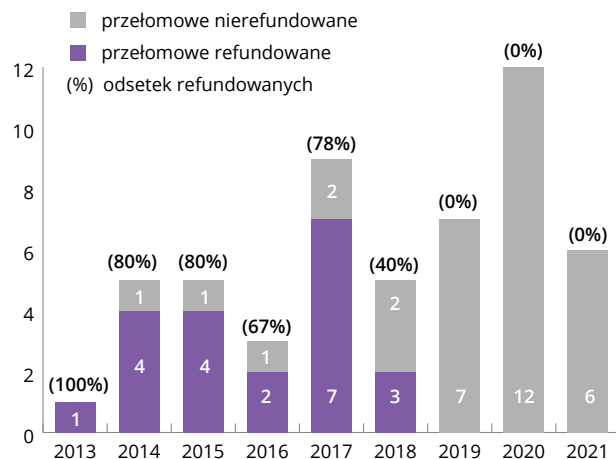
**Tabela 6.** Rejestracje nowych leków onkologicznych przez FDA od 2013 roku, określanych jako przełomowe i pierwsze w swojej klasie oraz ich status refundacyjny w Polsce

Nazwa handlowa	Substancja czynna	Wskazanie	Status	Rejestracja EMA	Czy refundowana w Polsce na 31.12.2021
<b>2013</b>					
Imbruvica	ibrutinib	przewlekła białaczka limfocytowa	breakthrough, first-in-class	2014	TAK
Kadcyla	ado-trastuzumab emtansine	rak piersi	first-in-class	2013	TAK
Mekinist	trametinib	czerniak	first-in-class	2014	TAK
Xofigo	radium Ra-223 dichloride	rak prostaty	first-in-class	2013	TAK
<b>2014</b>					
Blincyto	blinatumomab	ostra białaczka limfoblastyczna	breakthrough, first-in-class	2015	TAK
Keytruda	pembrolizumab	czerniak	breakthrough, first-in-class	2015	TAK
Lynparza	olaparib	rak jajników	first-in-class	2014	TAK
Opdivo	nivolumab	czerniak	breakthrough	2015	TAK
Zydelig	idelalisib	przewlekła białaczka limfocytowa	breakthrough, first-in-class	2014	
Zykadia	ceritinib	rak płuca	breakthrough	2015	TAK
<b>2015</b>					
Alecensa	alectinib	nowotwór płuc	breakthrough	2017	TAK
Darzalex	daratumumab	szpiczak plazmocytowy	breakthrough, first-in-class	2016	TAK
Empliciti	elotuzumab	szpiczak plazmocytowy	breakthrough, first-in-class	2016	
Ibrance	palbociclib	nowotwór piersi	breakthrough, first-in-class	2016	TAK
Tagrisso	osimertinib	nowotwór płuc	breakthrough	2016	TAK
<b>2016</b>					
Lartruvo	olaratumab		breakthrough	WYCOFANY	-
Rubraca	rucaparib	rak jajników	breakthrough	2018	
Tecentriq	atezolizumab	nowotwór pęcherza moczowego	breakthrough	2017	TAK



Nazwa handlowa	Substancja czynna	Wskazanie	Status	Rejestracja EMA	Czy refundowana w Polsce na 31.12.2021
Venclexta (Venclxyto)	venetoclax	przewlekła białaczka limfocytowa	breakthrough, first-in-class	2016	TAK
<b>2017</b>					
Alunbrig	brigatinib	nowotwór płuc	breakthrough	2018	TAK
Bavencio	avelumab	nowotwór komórek Merkel	breakthrough	2017	TAK
Besponsa	inotuzumab ozogamicin	ostra białaczka limfoblastyczna	breakthrough, first-in-class	2017	TAK
Calquence	acalabrutinib	chłoniak z komórek płaszczka	breakthrough	2020	
Idhifa	enasidenib		first-in-class	WYCOFANY	-
Imfinzi	durvalumab	nowotwór pęcherza moczowego	breakthrough	2018	TAK
Kisqali	ribociclib	nowotwór piersi	breakthrough	2017	TAK
Rydapt	midostaurin	ostra białaczka szikowa	breakthrough, first-in-class	2017	TAK
Verzenio (Verzenios)	abemaciclib	nowotwór piersi	breakthrough	2018	TAK
Zejula	niraparib	nowotwór jajników	breakthrough	2017	
<b>2018</b>					
Elzonris	tagraxofusp-erzs	plazmocytoidalny nowotwór komórek dendrytycznych (BPDCN)	breakthrough, first-in-class	2021	
Libtayo	cemiplimab-rwlc	nowotwór skóry	breakthrough	2019	TAK
Lorbrena	lorlatinib	nowotwór płuc	breakthrough	2019	TAK
Lutathera	lutetium Lu 177 dotatate	nowotwory neuroendokrynne	first-in-class	2017	
Poteligeo	mogamulizumab-kpkc	chłoniak nieziarniczny	breakthrough, first-in-class	2018	
Tibsovo	ivosidenib		first-in-class	WYCOFANY	-
Vitakvi	larotrectinib	guzy lite	breakthrough, first-in-class	2019	
<b>2019</b>					
Balversa	erdafitinib	nowotwór pęcherza moczowego	breakthrough, first-in-class	in process	
Brukinsa	zanubrutinib	chłoniak z komórek płaszczka	breakthrough	in process	
Enhertu	fam-trastuzumab deruxtecan-nxki	nowotwór piersi	breakthrough	2021	
Padcev	enfortumab vedotin-efv	nowotwór pęcherza moczowego	breakthrough, first-in-class		

Nazwa handlowa	Substancja czynna	Wskazanie	Status	Rejestracja EMA	Czy refundowana w Polsce na 31.12.2021
Polivy	polatuzumab vedotin-piiq	chłoniak z komórek B	breakthrough, first-in-class	2020	
Turalio	pexidartinib	guz olbrzymiokomórkowy kości	breakthrough, first-in-class	ODMOWA	
Rozlytrek	entrectinib	nowotwór płuc	breakthrough	2020	
Xpovio (Nexpovio)	selinexor	szpiczak plazmocytowy	first-in-class	2021	
<b>2020</b>					
Ayvakit (Ayvakyt)	avapritinib	nowotwór podścieliskowy prze- wodu pokarmowego	breakthrough	2020	
Blenrep	belantamab mafodotin	szpiczak plazmocytowy	breakthrough, first-in-class	2020	
Danyelza	naxitamab-gqgk	neuroblastoma	breakthrough		
Gavreto	pralsetinib	nowotwór płuc	breakthrough	2021	
Koselugo	selumetinib	nerwiakowłókniki splotowate	breakthrough, first-in-class		
Monjuvi (Minjuvi)	tafasitamab	chłoniak z komórek B	breakthrough, first-in-class	2021	
Pemazyre	pemigatynib	rnowotwory dróg żółciowych	breakthrough	2021	
Qinlock	ripretinib	nowotwór podścieliskowy prze- wodu pokarmowego	breakthrough	2021	
Retevmo (Retsevmo)	selpercatinib	rak płuca, rak tarczycy	breakthrough	2021	
Tabrecta	capmatinib	nowotwór płuc	breakthrough		
Tazverik	tazemetostat	mięsak tkanek miękkich	first-in-class		
Trodelyv	sacituzumab govitecan	rak piersi	breakthrough, first-in-class	2021	
Tukysa	tucatinib	rak piersi	breakthrough	2021	
<b>2021</b>					
Cosela	trilaciclib	nowotwór płuc	breakthrough		
Exkivity	mobocertinib	nowotwór płuc	breakthrough		
Jemperli	dostarlimab-gxly	rak endometrium	breakthrough	2021	
Lumakras	sotorasib	nowotwór płuc	breakthrough		
Rybrevant	amivantamab-vmjw	nowotwór płuc	breakthrough	2021/2022	
Ukoniq	umbralisib	chłoniaki strefy brzeżnej i chłoniaki grudkowe	breakthrough		



**Wykres 12.** Refundacja w Polsce terapii przełomowych wg FDA

Źródło: <https://www.fda.gov/drugs/new-drugs-fda-cders-new-molecular-entities-and-new-therapeutic-biological-products/novel-drug-approvals-2021>

Źródło 2: <https://www.fda.gov/drugs/nda-and-bla-approvals/breakthrough-therapy-approvals>

Niemal wszystkie przełomowe terapie (w sumie 9 na 11) z lat 2013–2015 są aktualnie refundowane w Polsce. Spośród 13 uznanych za przełomowe w latach 2016–2017, w Polsce refundację ma już dziewięć. Z pięciu przełomowych nowych terapii onkologicznych w 2018 roku refundowane są obecnie dwie. Warto jednocześnie podkreślić, że refundacja wspomnianych leków nie zawsze dotyczy wszystkich pełnych wskazań rejestracyjnych.

Wieloletni proces oceny HTA oraz weryfikacji danych z praktyki klinicznej dowodzi celności ocen FDA odnośnie wartości dodanej rejestrowanych, określanych jako przełomowe lub pierwsze w swojej klasie. W związku z tym warto rozważyć wzięcie pod uwagę wskazań FDA przy określaniu priorytetów refundacyjnych także w Polsce, zwłaszcza przy ewentualnym stosowaniu szybszej ścieżki refundacyjnej dla terapii przełomowych.

## Refundacja nowych leków onkologicznych w Polsce

Nowe leki onkologiczne rejestrowane są w procedurze centralnej Europejskiej Agencji Leków. Po autoryzacji EMA nowa terapia może być stosowana na terenie krajów Unii Europejskiej, w tym Polski, a także być przedmiotem wniosku o refundację.

W odniesieniu do nowych terapii objętych refundacją w latach 2015-2021, od momentu zlecenia przez Ministerstwo Zdrowia oceny wniosku refundacyjnego przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji do objęcia leku refundacją upływało średnio około 1,5 roku.

### 5.1. Czas od rejestracji do refundacji

W latach 2017-2021 do polskiego systemu refundacji weszły 92 nowe substancje czynne we wszystkich wskazaniach, w tym onkologicznych. Mediana czasu, jaki upłynął od autoryzacji EMA do pierwszego pojawienia się leku w obwieszczeniu Ministra Zdrowia, wyniosła dla nich około 3,4 roku. Wśród 92 preparatów znalazły się 44 produkty refundowane we wskazaniach onkologicznych oraz 48 preparatów nieonkologicznych.

W latach 2017-2021 decyzje o refundacji leków onkologicznych zapadały w Polsce średnio w ciągu 1278 dni od momentu rejestracji przez EMA. Mediana tego czasu wyniosła 3,4 roku. Dla leków nieonkologicznych ten czas był dłuższy – mediana wyniosła 3,9 roku.

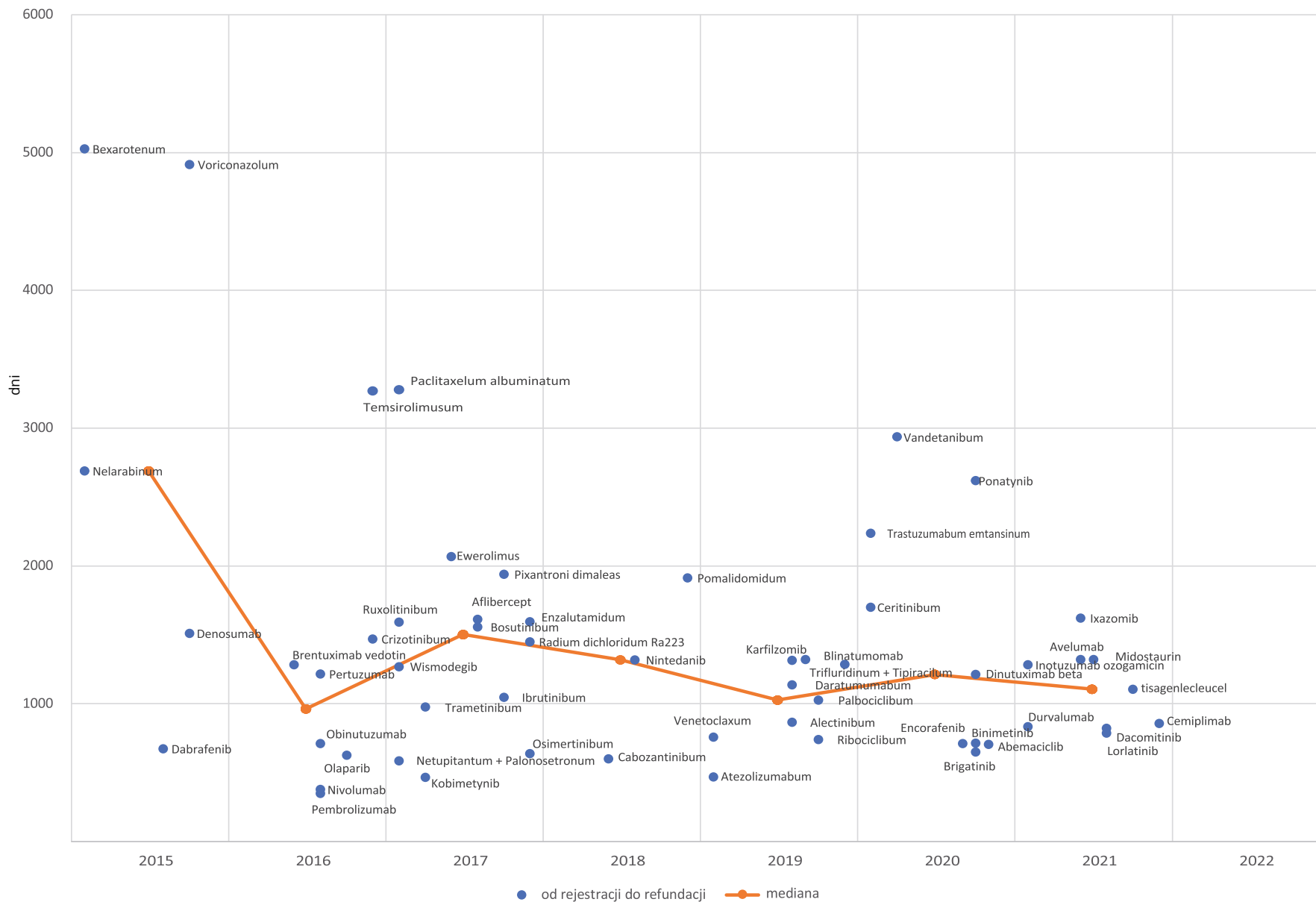
Najszybciej zrefundowane w tym czasie leki onkologiczne – to cobimetinib (Cotellic) – 467 dni od rejestracji EMA do opublikowania na liście refundacyjnej oraz atezolizumab (Tecentriq) – 468 dni, a wśród nieonkologicznych był to Zepatier (grazoprevir+elbasvir) – 283 dni. Najdłużej oczekiwały na refundację leki onkologiczne paclitaxelum albuminatum (Abraxane) – 3 278 dni i vandetanib (Caprelsa) – 2 936 dni, a spośród nieonkologicznych moroctocog alfa (ReFacto AF) – 8 238 dni.

Od pięciu lat, każdego roku w Polsce średnio 9 nowych leków onkologicznych zostaje objętych refundacją. Na przestrzeni ostatnich pięciu lat czas oczekiwania na refundację ulegał stopniowemu skróceniu, aczkolwiek rok 2020 zaburzył pozytywny trend – dystans czasowy się zwiększył. Było to niewątpliwie związane z lockdownem w czasie pandemii Covid-19, który utrudnił pracę przedsiębiorstw i instytucji publicznych. W przypadku 9 nowych cząsteczek wpisanych na listę refundacyjną w 2021 roku proces ten trwał średnio 1106 dni (3 lata) od momentu europejskiej rejestracji. Pozytywna tendencja skracania czasu oczekiwania na refundację w 2021 roku odbudowała się na nowo.

Analiza porównawcza czasu, jaki upływał od rejestracji EMA do objęcia refundacją nowej cząsteczki, wskazuje że w latach 2017-2021 leki onkologiczne były refundowane coraz szybciej i wyprzedziły pod tym względem produkty z pozostałych obszarów medycyny. O ile w latach 2017-2019 mediana tego czasu dla pozostałych grup leków była krótsza niż dla onkologicznych, to w ostatnich dwóch latach sytuacja zmieniła się na korzyść onkologii.

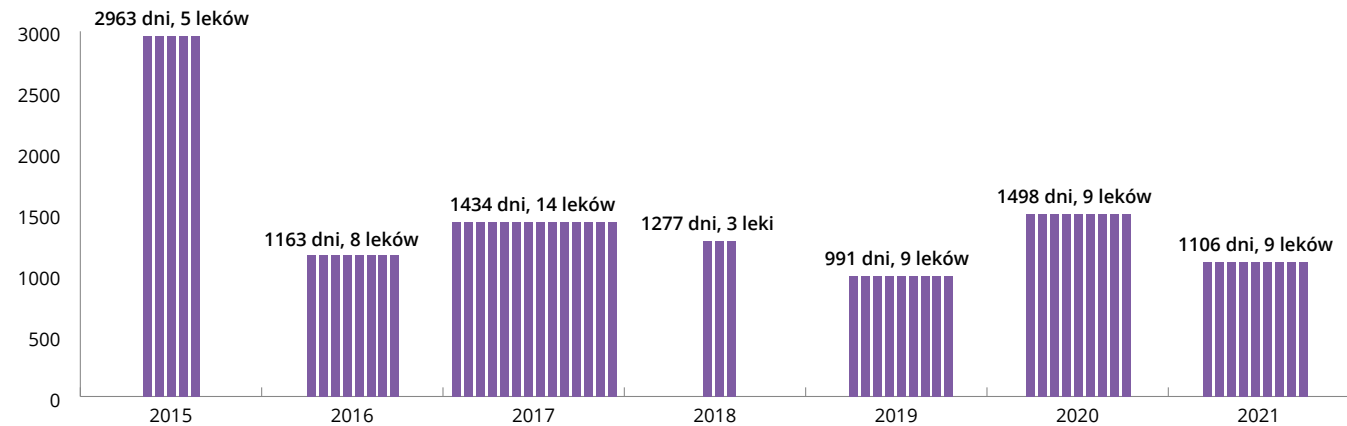
**Tabela 7.** Porównanie mediany czasu od pierwszej rejestracji EMA do refundacji w Polsce (w latach)

	nowe leki onkologiczne	nowe leki nieonkologiczne	wszystkie nowe leki
2017	4,1	3,6	3,7
2018	3,6	3,5	3,4
2019	2,8	2,5	2,7
2020	3,3	4,8	4,4
2021	3	4,9	3,8



Wykres 13. Czas (liczba dni) upływający od rejestracji nowej cząsteczki przez EMA do objęcia refundacją w Polsce

**Wykres 14.** Tempo obejmowania refundacją nowych leków onkologicznych w Polsce Średni czas od pierwszej rejestracji EMA do refundacji



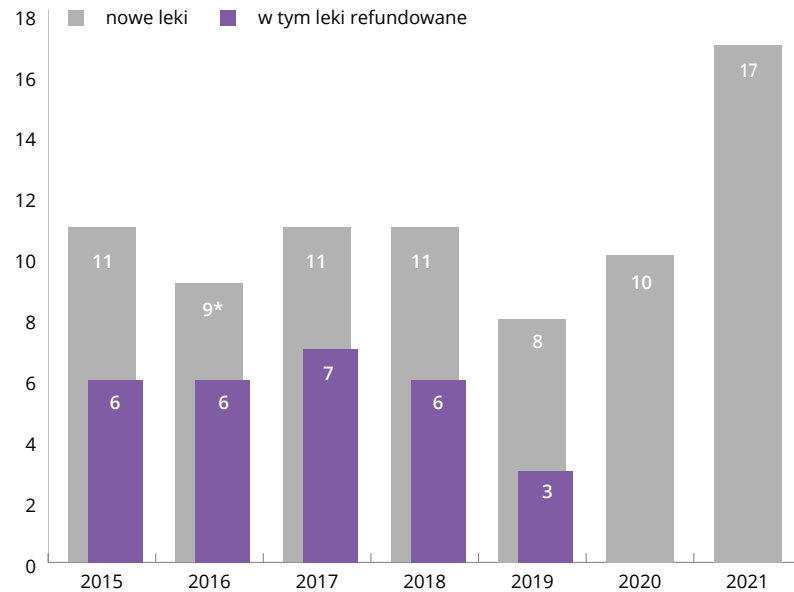
**Tabela 8.** Czas od rejestracji EMA dla leków onkologicznych objętych refundacją w latach 2017-2021

Brand	substancja	Wskazanie	Data objęcia refundacją	data rejestracji EMA	od rejestracji do refundacji (dni)
Abraxane	Paclitaxelum albuminatum	Leczenie pacjentów z przerzutowym gruczolakorakiem trzustki	01/01/2017	11/01/2008	3278
Erivedge	Wismodegib	Leczenie chorych na zaawansowanego raka podstawnokomórkowego skóry	01/01/2017	12/07/2013	1269
Akynzeo	Netupitantum + Palonosetronum	Chemioterapia	01/01/2017	27/05/2015	585
Jakavi	Ruxolitinibum	Leczenie mielofibrozy pierwotnej oraz mielofibrozy wtórnej w przebiegu czerwienicy prawdziwej i nadpłytkowości samoistnej	01/01/2017	23/08/2012	1592
Mekinist	Trametinibum	Leczenie czerniaka	01/03/2017	30/06/2014	975
Cotellic	Cobimetynib	Leczenie czerniaka skóry	01/03/2017	20/11/2015	467
Votubia	Ewerolimus	Leczenie chorych na stwardnienie guzowate z niekwalifikującymi się do leczenia operacyjnego guzami podwyżsiciótkowymi olbrzymiokomórkowymi (sega)	01/05/2017	02/09/2011	2068
Bosulif	Bosutinibum	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową	01/07/2017	27/03/2013	1557
Zaltrap	Aflibercept	Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	01/07/2017	01/02/2013	1611
Imbruvica	Ibrutinibum	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową	01/09/2017	21/10/2014	1046
Pixuvri	Pixantroni dimaleas	Leczenie chorych na chłoniaki złośliwe	01/09/2017	10/05/2012	1940

Brand	substancja	Wskazanie	Data objęcia refundacją	data rejestracji EMA	od rejestracji do refundacji (dni)
Tagrisso	Osimertinibum	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/11/2017	01/02/2016	639
Xofigo	Radium dichloridum Ra223	Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego	01/11/2017	13/11/2013	1449
Xtandi	Enzalutamidum	Leczenie opornego na kastrację raka gruczołu krokowego	01/11/2017	21/06/2013	1594
Cabometyx	Cabozantinibum	Leczenie raka nerki	01/05/2018	09/09/2016	599
Vargatef	Nintedanib	Leczenie niedrobnokomórkowego raka płuca	01/07/2018	21/11/2014	1318
Imnovid	Pomalidomidum	Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego	01/11/2018	05/08/2013	1914
Tecentriq	Atezolizumabum	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/01/2019	20/09/2017	468
Venclyxto	Venetoclaxum	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę limfocytową	01/01/2019	04/12/2016	758
Darzalex	Daratumumabum	Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego	01/07/2019	20/05/2016	1137
Blinicyto	Blinatumomab	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	01/07/2019	23/11/2015	1316
Alecensa	Alectinibum	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/07/2019	16/02/2017	865
Kyprolis	Karfilzomib	Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytoowego	01/07/2019	19/11/2015	1320
Ibrance	Palbociclibum	Leczenie chorych na raka piersi	01/09/2019	09/11/2016	1026
Kisqali	Ribociclibum	Leczenie chorych na raka piersi	01/09/2019	22/08/2017	740
Lonsurf	Trifluridinum + Tipiracilum	Leczenie zaawansowanego raka jelita grubego	01/11/2019	25/04/2016	1285
Zykadia	Ceritinibum	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/01/2020	06/05/2015	1701
Kadcyla	Trastuzumabum emtansinum	Leczenie chorych na raka piersi	01/01/2020	15/11/2013	2238
Caprelsa	Vandetanibum	Leczenie agresywnego i objawowego, nieoperacyjnego, miejscowo zaawansowanego lub przerzutowego raka rdzeniastego tarczycy	01/03/2020	16/02/2012	2936
Braftovi	Encorafenib	Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych	01/09/2020	19/09/2018	713
Alunbrig	Brigatinib	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/09/2020	22/11/2018	649

Brand	substancja	Wskazanie	Data objęcia refundacją	data rejestracji EMA	od rejestracji do refundacji (dni)
Qarziba	Dinutuximab beta	Leczenie pacjentów z nerwiakiem zarodkowym współczulnym	01/09/2020	08/05/2017	1212
Mektovi	Binimetinib	Leczenie czerniaka skóry lub błon śluzowych	01/09/2020	20/09/2018	712
Iclusig	Ponatinib	Leczenie chorych na przewlekłą białaczkę szpikową/ leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	01/09/2020	01/07/2013	2619
Verzenio	Abemaciclib	Leczenie chorych na raka piersi	01/09/2020	26/09/2018	706
Imfinzi	Durvalumab	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/01/2021	21/09/2018	833
Besponsa	Inotuzumab ozogamicin	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	01/01/2021	28/06/2017	1283
Ninlaro	Ixazomib	Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytozy	01/05/2021	21/11/2016	1622
Rydapt	Midostaurin	Leczenie chorych na ostrą białaczkę szpikową/leczenie agresywnej mastocytozy układowej, mastocytozy układowej z współistniejącym nowotworem układu krwiotwórczego oraz białaczki mastocytarnej	01/05/2021	18/09/2017	1321
Bavencio	Avelumab	Leczenie raka z komórek merkla	01/05/2021	18/09/2017	1321
Vizimpro	Dacomitinib	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/07/2021	02/04/2019	821
Lorviqua	Lorlatinib	Leczenie niedrobnokomórkowego lub drobnokomórkowego raka płuca	01/07/2021	06/05/2019	787
Kymriah	tisagenlecleucel	Leczenie chorych na ostrą białaczkę limfoblastyczną	01/09/2021	22/08/2018	1106
Libtayo	Cemiplimab	Leczenie chorych na zaawansowanego raka kolczystokomórkowego skóry	01/11/2021	28/06/2019	857

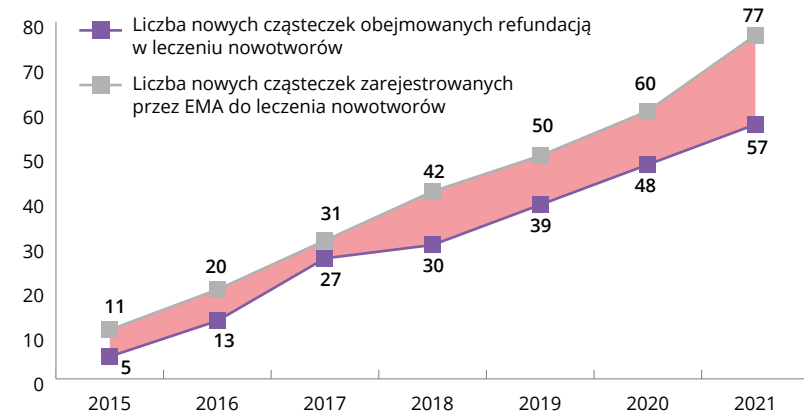




Wykres 15. Stan refundacji leków zarejestrowanych przez EMA od 2015 roku

W latach 2015–2021 EMA zarejestrowała w sumie 77 nowych leków onkologicznych i hematologicznych (autoryzacje trzech leków zostały później wycofane), które stanowiły około 29 proc. wszystkich nowych rejestracji (273) w tym czasie. Spośród leków onkologicznych objętych refundacją na koniec grudnia 2021 roku najpóźniejszą datę rejestracji przez EMA miał cemiplimab (Libtayo) – dopuszczony do obrotu 28 czerwca 2019 roku.

Od 2017 roku w Polsce widoczne jest przyspieszenie wydawania decyzji refundacyjnych dla nowych leków stosowanych w leczeniu nowotworów. W tym samym okresie liczba noworejestrowanych przez Europejską Agencję Leków substancji czynnych była również wysoka. W latach 2015-2021 Minister Zdrowia objął refundacją 57 nowych cząsteczek. Zestawienie porównawcze obu tych liczb pokazuje, że resort zdrowia podejmuje istotny wysiłek, aby poprawić dostępność refundacyjną leków onkologicznych, ale równie szybko postępuje rozwój technologii lekowych stosowanych w leczeniu nowotworów. Liczba polskich decyzji refundacyjnych jest niższa niż liczba nowych rejestracji EMA.



Wykres 16. Porównanie liczby nowych rejestracji EMA i refundacji nowych cząsteczek (liczby narastająco)

Nie wszystkie nowe leki są w Polsce refundowane, choćby z opóźnieniem. Spośród 11 nowości zarejestrowanych w 2015 roku, dotychczas 6 zostało w Polsce objętych refundacją. Podobnie wyglądają statystyki z lat kolejnych. Zrefundowaliśmy dotychczas 25 spośród 42 – czyli 60 proc. – nowych substancji, zarejestrowanych w latach 2015-2018.

Na to, że nie każdy nowy lek jest w Polsce refundowany, mają wpływ zarówno możliwości finansowe płatnika jak i zróżnicowana wartość innowacji. Największym wyzwaniem jest wyselekcjonowanie tych nowych preparatów, które oferują istotną wartość dodaną w stosunku do terapii już dostępnych.

Dla polepszenia dostępu pacjentów do nowoczesnych terapii istotne jest szybsze podejmowanie decyzji refundacyjnych oraz co najmniej utrzymanie, a najlepiej zwiększenie liczby nowych leków obejmowanych refundacją, zwłaszcza w pełnych wskazaniach. Liczba nowych cząsteczek obejmowanych refundacją w leczeniu nowotworów powinna dorównać liczbie nowych rejestracji EMA, tak aby odrobić zapóźnienia z lat poprzednich i skrócić czas oczekiwania na nowe terapie.

## 5.2. Refundacja leków onkologicznych o najwyższej wartości dodanej ESMO-MCBS

Nowe cząsteczki rejestrowane we wskazaniach do leczenia nowotworów przynoszą zróżnicowaną wartość dodaną. Analiza opublikowana w 2017 roku przez BMJ<sup>1</sup> wykazała, że na 68 wskazań przeciwnowotworowych zatwierdzonych przez EMA w latach 2009-13 i objętych dalszą obserwacją o medianie

<sup>1</sup> Availability of evidence of benefits on overall survival and quality of life of cancer drugs approved by European Medicines Agency: retrospective cohort study of drug approvals 2009-13; BMJ 2017; 359:j4530

trwania wynoszącej 5,4 roku, tylko w przypadku 35 (51%) stwierdzono istotną poprawę całkowitego przeżycia lub jakości życia w porównaniu z alternatywami terapeutycznymi. W przypadku 33 (49%), wskazań korzyści w zakresie poprawy długości lub jakości życia pozostawały w obszarze niepewności. Jak składowali autorzy analizy – „Większość nowych leków onkologicznych zatwierdzonych przez EMA w latach 2009-13 zostało dopuszczonych do obrotu bez wyraźnych dowodów na poprawę całkowitego przeżycia lub jakości życia pacjentów. W przypadku wykazanych korzyści w stosunku do dostępnych alternatyw terapeutycznych, korzyści te nie zawsze miały znaczenie kliniczne”.

**Tabela 9.** Wykaz leków ocenionych najwyżej (“kategoria „A”) według skali ESMO-MCBS ze wskazaniami

ocena ESMO-MCBS	cząsteczka	wskazanie	liczba ocen „A”	ocena ESMO-MCBS	cząsteczka	wskazanie	liczba ocen „A”
A	nivolumab	czerniak (adjuwant)	3	A	osimertinib (3 lata)	niedrobnokomórkowy rak płuca (adjuwant)	1
A	nivolumab	gruczolakorak przełyku lub połączenia przełyku (adjuwant)	1	A	pertuzumab	rak piersi HER2+ (wczesny)	1
A	nivolumab	rak pęcherza (adjuwant)	1	A	trastuzumab	rak piersi HER2+ (wczesny)	1
A	fluorouracil	rak okrężnicy (adjuwant)	2	<b>lek złożony</b>			
A	ipilimumab	czerniak (adjuwant, przerzutowy)	2	A	fluorouracil+leucovorin lub fluorouracil+levamisol	rak okrężnicy (adjuwant)	4
A	pembrolizumab	czerniak (adjuwant)	1	A	fluorouracil+leucovorin	rak okrężnicy (adjuwant)	2
A	pembrolizumab	rak piersi potrójnie ujemny (wczesne stadium, wysokie ryzyko, neoadjuwant)	1	A	dabrafenib+trametinib	czerniak (adjuwant)	1
A	imatinib (1 rok)	GIST (adjuwant)	1	A	epirubicin+fluorouracil+ Cisplatin	gruczolakorak żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego (wczesny)	1
A	imatinib (3 lata)	GIST (adjuwant)	1	A	fluorouracil+Cisplatin	gruczolakorak żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego (wczesny)	1
A	abemaciclib	rak piersi HER2+ (wczesny)	1	A	fluorouracil+levamisol	rak okrężnicy (adjuwant)	1
A	atezolizumab	niedrobnokomórkowy rak płuca (adjuwant)	1	A	FLOT (docetaxel, oxaliplatin, fluorouracil, leucovorin)	gruczolakorak żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego (wczesny)	1
A	dinutuximab	neuroblastoma (wczesny)	1	A	mPOLFIRINOX	rak trzustki (wczesny)	1
A	gemcitabine	rak trzustki (wczesny)	1			<b>razem</b>	<b>33</b>
A	neratinib	rak piersi HER2+ (wczesny)	1				

\* Czerwony kolor oznacza lek nie refundowany w Polsce

Weryfikacja wartości dodanej nowych terapii stanowi wyzwanie dla agencji rejestracyjnych, urzędów taryfikacyjnych oraz towarzystw naukowych. Europejskie Stowarzyszenie Onkologii Medycznej (ESMO) publikuje oceny wartości dodanej nowych leków onkologicznych według algorytmu MCBS (*Magnitude of Clinical Benefit Scale*). Dotyczy to jedynie terapii stosowanych w leczeniu nowotworów litych.

Algorytm ESMO-MCBS zawiera dwie skale ocen. Jedna służy do oceny terapii zmierzających do wyleczenia choroby i zawiera oceny w skali od „A” do „E”, przy czym „A” oznacza ocenę najwyższą. Druga skala służy do oceny terapii paliatywnych, przedłużających życie i zawiera oceny od „1” do „5”, przy czym „5” oznacza najwyższą wartość dodaną.

Baza ESMO zawierała 28 grudnia 2021 roku 302 oceny korzyści klinicznych ze stosowania leku w konkretnym wskazaniu, przy czym leki mogą być oceniane wielokrotnie, w odniesieniu do różnych komparatorów. Odnotowano 50 najwyższych możliwych ocen (oceny „5” lub „A”) dotyczących 29 leków. Natomiast 84 dobre oceny (oceny „4”, ponieważ oceny „B” nie przyznano ani razu) dotyczyło 48 leków. A zatem mniej niż połowa – 134 na 302 oceny (44 proc.) – należała do dwóch najwyższych poziomów wartości dodanej i dotyczyła w sumie 76 leków. Spośród nich, zdecydowana większość (88 proc.) jest w Polsce refundowana. Sytuacja jest jednak mniej optymistyczna niż wskazują na to statystyki, ponieważ wiele z nich jest refundowana nie w pełnych zarejestrowanych wskazaniach. Może to być także spowodowane różną skutecznością tej samej cząsteczki w różnych wskazaniach.

Najwyższe oceny w grupie terapii prowadzących do wyleczenia, czyli „A”, ESMO przyznało dotychczas 13 cząsteczkom i 8 lekom złożonym. Aż pięć takich ocen otrzymała terapia nivolumabem. Po cztery oceny „A” otrzymały terapie złożone fluorouracil+leucovorin oraz fluorouracil+levamisole. Spośród terapii ocenionych jako „A” tylko jedna – neratinib w leczeniu raka piersi – nie jest refundowana w Polsce.

W grupie terapii przedłużających życie najwyższe oceny, czyli „5”, przyznano dotychczas 5 cząsteczkom i 2 lekom złożonym. Aż sześć takich ocen otrzymała terapia pembrolizumabem, cztery oceny otrzymał nivolumab a trzy – atezolizumab. Wszystkie terapie ocenione na „5” mają w Polsce refundację.

**Tabela 10.** Wykaz leków ocenionych najwyżej (kategoria „5”) według skali ESMO-MCBS ze wskazaniami

ocena ESMO-MCBS	cząsteczka	wskazanie	liczba ocen „5”
5	pembrolizumab	niedrobnokomórkowy rak płuca (przerzutowy)	5
5	pembrolizumab	rak płaskonabłonkowy (nawracający lub przerzutowy)	1
5	nivolumab	niedrobnokomórkowy rak płuca (przerzutowy)	2
5	nivolumab	rak płaskonabłonkowy (nawracający lub przerzutowy)	1
5	nivolumab	rak nerkowokomórkowy (zaawansowany)	1
5	atezolizumab	niedrobnokomórkowy rak płuca (przerzutowy)	2
5	atezolizumab	rak wątrobowokomórkowy (zaawansowany lub nieoperacyjny)	1
5	ribociclib	rak piersi HR+ HER2- (zaawansowany)	1
5	Radium 223	rak prostaty (przerzutowy)	1
<b>lek złożony</b>			
5	dabrafenib + trametinib	czerniak (przerzutowy)	1
5	POLFIRINOX	rak trzustki (przerzutowy)	1
<b>razem</b>			<b>17</b>

Drugie w kolejności skali dla terapii paliatywnych oceny „4” przyznano 48 terapiom. Dziesięć razy oceniono tak pembrolizumab, pięć takich ocen otrzymał nivolumab a po trzy oceny – abiraterone, docotaxel, enzalutamid, ipilimumab, olaparib oraz terapia złożona nivolumab+ipilimumab. Wśród leków ocenionych na „4”, znalazło się 8, które nie są w Polsce objęte refundacją: lenvatinib, 177Lu-DOTATATE, apalutamid, enfortumab vedotin, regorafenib, sacituzumab govitecan-hziy, talazoparib, trastuzumab deruxtecan.

**Tabela 11.** Wykaz leków ocenionych najwyżej („kategoria „4”) według skali ESMO-MCBS ze wskazaniami

ocena ESMO-MCBS	cząsteczka	wskazania	liczba ocen „4	ocena ESMO-MCBS	cząsteczka	wskazania	liczba ocen „4
4	pembrolizumab	rak jelita grubego, rak pęcherza, rak płaskonabłonkowy (2), rak szyi, rak nerkowokomórkowy, niedrobnokomórkowy rak płuca (2), rak przełyku (2)	10	4	cobimetinib	czerniak	1
4	nivolumab	rak żołądka lub gruczolakorak przełyku, nerkowokomórkowy, przełyku, czerniak (2)	5	4	dabrafenib	czerniak	1
4	abiraterone	rak prostaty (3)	3	4	durvalumab	niedrobnokomórkowy rak płuca	1
4	docetaxel	rak prostaty (3)	3	4	enfortumab vedotin	rak pęcherza	1
4	enzalutamid	rak prostaty (3)	3	4	gefitinib	niedrobnokomórkowy rak płuca	1
4	ipilimumab	czerniak (3)	3	4	lorlatinib	niedrobnokomórkowy rak płuca	1
4	olaparib	rak jajników (2), rak piersi	3	4	palbociclib	rak piersi	1
4	afatinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	panitumumab	rak okrężnicy i odbytu	1
4	alectinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	pazopanib	rak nerkowokomórkowy	1
4	ceritinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	pertuzumab	rak piersi	1
4	cetuximab	rak okrężnicy i odbytu (2)	2	4	regorafenib	rak wątrobowokomórkowy	1
4	crizotinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	ribociclib	rak piersi	1
4	encorafenib	rak okrężnicy i odbytu, czerniak	2	4	sacituzumab govitecan-hziy	rak piersi	1
4	erlotinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	sunitinib	rak nerkowokomórkowy	1
4	lenvatinib	rak nerkowokomórkowy (zaawansowany, nieoperacyjny)	2	4	talazoparib	rak piersi	1
4	osimertinib	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	T-DM1	rak piersi	1
4	pemetrexed	niedrobnokomórkowy rak płuca (2)	2	4	trametinib	czerniak	1
4	vemurafenib	czerniak (2)	2	4	trastuzumab	rak piersi	1
4	<sup>177</sup> Lu-DOTATATE	guzy neuroendokrynne	1	4	trastuzumab deruxtecan	gruczolakorak żołądka lub połączenia żołądkowo-przełykowego	1
4	abemaciclib	rak piersi	1	<b>terapia złożona</b>			
4	apalutamid	rak prostaty	1	4	nivolumab + ipilimumab	czerniak, rak nerkowokomórkowy, niedrobnokomórkowy rak płuca	3
4	avelumab	rak pęcherza	1	4	dabrafenib + trametinib	czerniak	1
4	axitinib	rak nerkowokomórkowy	1	4	opieka paliatywna	niedrobnokomórkowy rak płuca (przerzutowy, w porównaniu do chemioterapii)	1
4	bevacizumab	rak jajników	1	<b>razem</b>			
4	binimetinib	czerniak	1	<b>84</b>			
4	cemiplimab	niedrobnokomórkowy rak płuca	1				

\* Czerwony kolor oznacza lek nie refundowany w Polsce

## Leki onkologiczne w programach lekowych

### 6.1. Programy lekowe

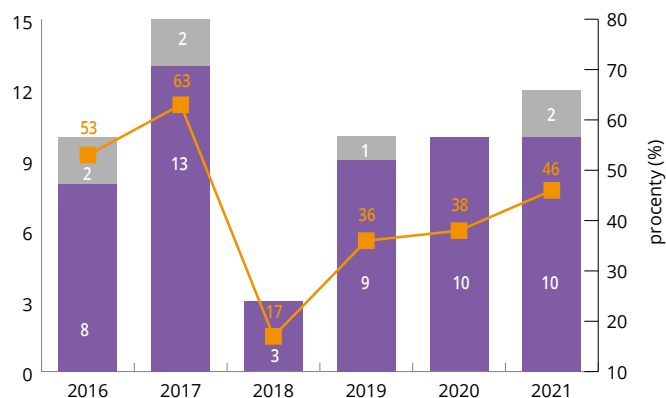
Podstawową ścieżką dostępu polskich pacjentów do nowych leków w leczeniu nowotworów są programy lekowe. Liczba leków nowotworowych objętych finansowaniem w ramach programów lekowych w ostatnich latach systematycznie wzrasta. Na koniec grudnia 2021 w Polsce działało 105 programów lekowych, w tym 37 onkologiczne.

W 2020 roku w Polsce były 92 programy lekowe, z których 32 dotyczyły leczenia nowotworów, co stanowi 35 proc. Ich liczba w ostatniej dekadzie znacząco wzro-

sła, przy czym tempo rozwoju programów dotyczących leczenia chorób nowotworowych, włączając hematologiczne, było nieco szybsze niż w pozostałych obszarach terapeutycznych. W 2012 roku działały 44 programy lekowe, w tym 12 onkologicznych (27 proc.) W latach 2016–2020 utworzono 71 nowych programów lekowych, w tym 28 (39 proc.) dotyczyło leczenia pacjentów z nowotworami.

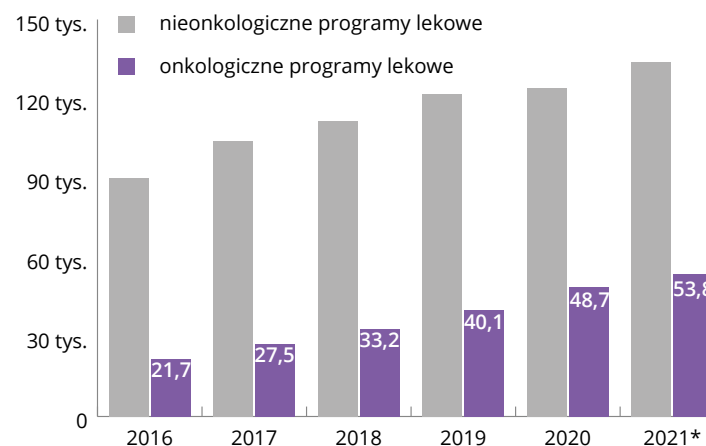
W ostatnich latach znacznie zwiększyła się liczba nowych leków refundowanych przez NFZ. W 2019 roku do refundacji wprowadzono w sumie 18 nowych cząsteczek, w 2020 roku – 17 a w 2021 – 23 nowe cząsteczki.

- nowe molekuly onkologiczne (finansowane w ramach onkologicznych PL)
- nowe molekuly onkologiczne (finansowane w ramach katalogu chemioterapii)
- udział molekul onkologicznych w calosci nowych decyzji refundacyjnych



**Wykres 17.** Nowe molekuly onkologiczne w refundacji w latach 2016-2021

Źródło: HTA Consulting



**Wykres 18.** Liczba pacjentów (w tys.) leczonych w ramach PL w latach 2016-2021

\* liczba szacunkowa

Źródło: HTA Consulting

Na koniec grudnia 2021 liczba molekuł refundowanych w onkologicznych programach lekowych wynosiła 73, a w katalogu chemioterapii – 72. W sumie liczba unikalnych molekuł wynosiła 144. Dla porównania, w programach działających w 2012 roku refundowano 88 substancji czynnych, w tym 24 (27 proc.) stosowanych w terapii nowotworów.

W latach 2013–2020 uwzględniano do refundacji w ramach programów lekowych przeciętnie około 10 substancji czynnych w onkologii i 14 substancji w programach nieonkologicznych. W sumie wprowadzono do stosowania w programach lekowych 189 nowych substancji, w tym 78 substancje (41 proc.) o wskazaniach onkologicznych. Natomiast w 2021 roku do refundacji w ramach programów lekowych wprowadzono 34 produkty (nowych substancji lub nowych wskazań)

Równocześnie z obejmowaniem refundacją nowych cząsteczek, w ostatnich pięciu latach systematycznie rośnie liczba pacjentów leczonych w ramach programów lekowych. We wszystkich programach lekowych w 2020 roku leczonych było 173 tys. osób, podczas gdy w 2016 roku było to 112 tys. Udział chorych na nowotwory w tej grupie od 2016 roku jest stabilny, utrzymuje się na poziomie 20-28 proc. W 2020 roku w onkologicznych programach leczyło się 48.798 osób, a w programach nieonkologicznych – 123 986 osób. Wśród dziesięciu programów lekowych z największą liczbą pacjentów są 2 onkologiczne – leczenie raka piersi oraz zaawansowanego raka jelita grubego.

Molekułą, którą przyjmowało najwięcej uczestników onkologicznych programów lekowych, był w 2020 roku trastuzumab – stosowało go 7911 osób. Kolejnymi cząsteczkami pod względem liczby pacjentów były: pertuzumab (2698 osób), nivolumab (2397 osób) oraz rituximab (2368 osób). Dziesięć najpopularniejszych molekuł onkologicznych w programach lekowych przyjmowało w sumie ponad 27 tys. pacjentów.

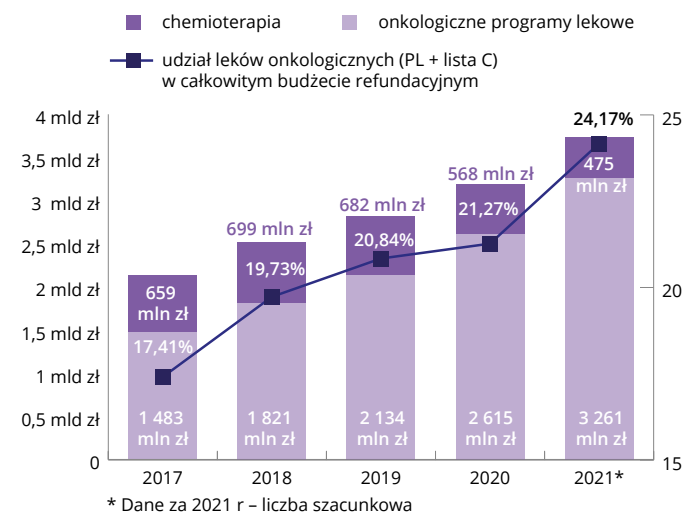
## 6.2. Wydatki na leki w programach lekowych

Wydatki NFZ na refundację leków w programach lekowych dotyczących leczenia nowotworów w 2020 roku wyniosły 2.615 mln zł. Począwszy od 2017 roku rosną one w tempie około 20 proc. rocznie. Od 2018 roku koszty programów onkologicznych przewyższają koszty pozostałych programów. W 2020 roku stanowiły już niemal 60 proc. wszystkich wydatków na tę formę refundacji. Natomiast łączne wydatki na refundację leków onkologicznych, w ramach programów lekowych oraz chemioterapii, stanowiły w 2020 roku 21,27 proc. całkowitego

**Tabela 12.** Molekuły finansowane w ramach onkologicznych programów lekowych o największej liczbie pacjentów w 2020 roku

Substancja	2020
Trastuzumab	7 911
Pertuzumab	2 698
Nivolumab	2 397
Rituximab	2 368
Enzalutamid	2 336
Bevacizumab	2 326
Lenalidomid	2 184
Trifluridinum + Tipiracilum	1 845
Cetuximab	1 658
Pembrolizumab	1 554

Źródło: HTA Consulting



**Wykres 19.** Łączne wydatki NFZ na programy lekowe w onkologii i chemioterapię

Źródło: NFZ

budżetu refundacyjnego (CBR), podczas gdy w 2017 roku było to 17,41 proc. Ich udział w wydatkach NFZ na wszystkie świadczenia gwarantowane w 2020 roku wyniósł 3,12 proc., w porównaniu do 2,76 proc. w 2017 roku.

Programy lekowe dotyczące leczenia nowotworów są zwykle bardziej kosztowne od innych, z wyjątkiem chorób rzadkich. Znacząca część nowotworów spełnia zresztą kryteria choroby rzadkiej.

W latach 2012-2019 średnia cena realna leków refundowanych w onkologicznych programach lekowych wzrastała z 3239 zł do 4423 zł. W tym samym czasie średnia cena leków w programach nieonkologicznych spadła z 1718 zł do 1561 zł. W 2020 r. mediana kosztu ponoszonego na leczenie jednego pacjenta we wszystkich programach lekowych wynosiła niemal 38 tys. zł na rok, przy czym w programach onkologicznych – ponad 52 tys. a w programach nieonkologicznych – niecałe 15 tys. zł na rok. Koszty leczenia pacjentów w programach onkologicznych rosły szybciej niż pozostałe.

W 2020 roku wśród 10 najdroższych programów lekowych – w przeliczeniu na jednego pacjenta – nie było onkologicznych. Najdroższe terapie dotyczą chorób rzadkich, gdzie roczne koszty na jednego pacjenta wynoszą od ponad 1,2 mln zł do około 300 tys. zł. Pierwszy program onkologiczny w tym zestawieniu znajdował się na 11. miejscu – to leczenie chorych na chłoniaki (CD30+), w którym leczenie jednego pacjenta kosztowało 143 tys. zł rocznie.

W zestawieniu 10 najbardziej kosztownych programów lekowych w 2020 roku znalazło się 7 programów, które dotyczyły leczenia nowotworów: raka piersi, niedrobnokomórkowego raka płuca, opornego lub nawrotowego szpiczaka plazmocytowego, zaawansowanego raka jelita grubego, czerniaka skóry lub błon śluzowych, opornego na kastrację raka gruczołu krokowego oraz raka nerki.

Refundacja leków w 10 najkosztowniejszych programach onkologicznych kosztowała NFZ prawie 2,2 mld zł w 2020 roku. Najkosztowniejszym programem onkologicznym było leczenie raka piersi (B.9), na które przeznaczono prawie 481 mln zł.

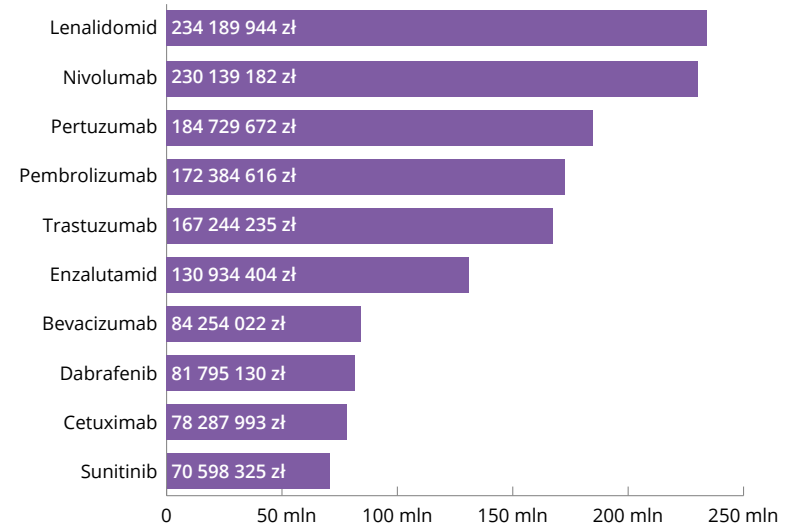
**Wykres 20.** Najbardziej kosztochłonne onkologiczne programy lekowe w 2020 roku (koszt substancji czynnych)

Źródło: HTA Consulting



Ponad połowa (55 proc., czyli 1,4 mld zł) wydatków na programy lekowe w onkologii była związana z refundacją 10 najbardziej kosztochłonnych cząsteczek. Najwięcej wydano na lenalidomid (234 mln zł), nivolumab (230 mln zł) oraz pertuzumab (185 mln zł).

Natomiast najbardziej kosztochłonną cząsteczką w chemioterapii onkologicznej był w 2020 roku rituximab (80 mln zł), a następnie azacitidine (39 mln zł) i fulvestrant (35 mln zł). Rituximab refundowano w chemioterapii 22 wskazaniach, według kodów ICD-10 z grup C81, C85, C88 i C91.



**Wykres 21.** Najbardziej kosztochłonne molekuly stosowane w onkologii finansowane w ramach PL w 2020 roku

Źródło: HTA Consulting



## Wnioski

Celem Polityki Lekowej Państwa 2018-2022 jest zapewnienie bezpiecznych i skutecznych leków, dostępnych w odpowiednim miejscu i czasie.

Analiza decyzji oraz środków przeznaczanych na farmakoterapię chorób nowotworowych wskazuje, że dostępność refundacyjna nowych leków w onkologii poprawia się szybciej niż w pozostałych obszarach medycyny. Ten korzystny proces został zaburzony przez pandemię, w czasie której zmniejszyły się nakłady Narodowego Funduszu Zdrowia na świadczenia związane z leczeniem chorych na nowotwory.

Decyzje refundacyjne dotyczące nowych terapii zapadają w Polsce ze znacznym opóźnieniem, wynoszącym co najmniej trzy lata od momentu rejestracji terapii przez Europejską Agencję Leków (EMA). Nie wszystkie nowo rejestrowane terapie onkologiczne są refundowane w Polsce, w dodatku znacząca część decyzji refundacyjnych (kryteria programów lekowych) ogranicza zakresy ich stosowania. Nowe leki przeznaczone do leczenia nowotworów pojawiają się w liczbie dziesięciu lub więcej rocznie. Liczba nowych rejestracji EMA jest od kilku lat podobna do liczby nowych cząsteczek obejmowanych rejestracją w Polsce. Oznacza to, że nasza zapóźnienie dostępności do terapii onkologicznych nie narasta, ale także nie zmniejsza się.

Innym celem Polityki Lekowej Państwa jest systematyczna poprawa stanu zdrowia populacji, dzięki optymalizacji wydatków publicznych, zapewniających możliwie najszerszy dostęp do skutecznych, bezpiecznych i kosztowo-efektywnych terapii.

Refundacją w polskim systemie obejmujemy zdecydowaną większość terapii, wskazywanych jako przełomowe przez Amerykańską Agencję Żywności i Leków (FDA) oraz najwyżej ocenianych przez Europejskie Stowarzyszenie Onkologii Medycznej (ESMO). To świadczy o tym, że procesy weryfikacyjne i taryfikacyjne AOTMiT potwierdzają słuszność decyzji FDA i ESMO.

Ocena najlepszego efektu zdrowotnego w oparciu o dowody naukowe i wytyczne kliniczne pozwala na wskazanie priorytetów refundacyjnych. Ocena FDA oraz algorytmy ESMO wspierają proces identyfikacji tych cząsteczek i pozwalają na przyspieszenie procesu ich oceny w polskim systemem refundacyjnym. Systematyczne podnoszenie efektywności systemu ochrony zdrowia w Polsce wymaga jeszcze zmian poprzez zniesienie restrykcji wskazań w dostępie do poszczególnych leków oraz uwzględnienia cząsteczek na całej ścieżce terapeutycznej pacjenta.

Analiza ocen FDA, decyzji EMA oraz algorytmu ESMO pozwala wyselekcjonować nowe terapie onkologiczne stosowane w leczeniu guzów litych, które ze względu na efekty kliniczne w pierwszej kolejności powinny zostać objęte procesem refundacji. Przy zastosowaniu jednego z dwóch kryteriów: uznania leku za przełomowy według FDA lub wysokiej (4, 5 lub A) oceny w algorytmie ESMO, lista potencjalnych priorytetów refundacyjnych spośród nowych cząsteczek zarejestrowanych w ostatnim okresie może objąć około 25 pozycji, nie uwzględniając nowych wskazań cząsteczek już refundowanych (patrz tabela na str. 34).

	EMA	FDA	wskazanie	ocena FDA	ocena ESMO
sotorasib	2021*	2021	NDRP	breakthrough	ESMO 3
enfortumab vedotin-efv	2021*	2019	rak pęcherza	breakthrough, first-in-class	ESMO 4,2
amivantamab-vmjw	2021*	2021	NDRP	breakthrough	
sacituzumab govitecan-hziy	2021	2020	rak piersi	breakthrough, first-in-class	ESMO 4, 2
pralsetinib	2021	2020	NDRP	breakthrough	ESMO 3, 3 + 3, 3
ripretinib	2021	2020	GIST	breakthrough	ESMO 3
dostarlimab-gxly	2021	2021	rak endometrium	breakthrough	ESMO 3
selumetinib	2021	2020	nerwiakowłókniaki	breakthrough, first-in-class	
pemigatinib	2021	2020	cholangiocarcinoma	breakthrough	ESMO 3
tucatinib	2021	2020	rak piersi	breakthrough	ESMO 3
selpercatinib	2021	2020	NDRP, rak tarczycy	breakthrough	ESMO 3, 3, 3, 3
trastuzumab deruxtecan	2021	2019	rak piersi	breakthrough	ESMO 2
avapritinib	2020	2020	GIST	breakthrough	ESMO 3
entrectinib	2020	2019	guzy lite z NTRK	breakthrough	ESMO 3
talazoparib	2019	2018	rak piersi		ESMO 4
larotrectinib	2019	2018	guzy lite	breakthrough	ESMO 3
apalutamid	2019	2018	rak prostaty		ESMO 4, 3
rucaparib	2018	2016	rak jajników	breakthrough	ESMO 3, 3, 3, 3
neratinib	2018	2017	rak piersi		ESMO A, 1
lutetium Lu 177 dotatate	2017	2018	nowotwory neuroendokrynne	first-in-class	ESMO 4
niraparib	2017	2017	rak jajników	breakthrough	ESMO 3, 3, 3, 3, 3
trilaciclib		2021	DRP	breakthrough	
naxitamab-gqgk		2020	neuroblastoma	breakthrough	
capmatinib		2020	NDRP	breakthrough	ESMO 3, 3
lenvatinib	2015	2015	rak nerkowokomórkowy		ESMO 4, 3, 4
regorafenib	2013	2012	rak wątrobowokomórkowy		ESMO 4

\* leki z pozytywną opinią Komitetu ds. Leków dla Ludzi (CHMP) EMA, bez formalnej autoryzacji Komisji Europejskiej na koniec grudnia 2021

## Rejestracje EMA nowych leków stosowanych w leczeniu chorób nowotworowych w latach 2015-2021

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2021	Abecma	idecabtagene vicleucel	Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego
2021	Brukinsa	zanubrutinib	Waldenstrom Macroglobulinemia (chłoniak)
2021	Copiktra	duvelisib	Białaczka
2021	Elzonris	tagraxofusp	Chłoniak
2021	Enhertu	trastuzumab deruxtecan	Nowotwór piersi
2021	Gavreto	pralsetinib	Nowotwór płuc
2021	Jemperli	dostarlimab	Rak endometrium
2021	Koselugo	selumetinib	Nerwiakowłóknaki
2021	Minjuvi	tafasitamab	Chłoniak z komórek B
2021	Nexpovio	selinexor	Szpiczak mnogi
2021	Onureg	azacitidine	Białaczka
2021	Pemazyre	pemigatinib	Rak dróg żółciowych
2021	Qinlock	ripretinib	Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego
2021	Retsevmo	selpercatinib	Nowotwór płuc, tarczycy
2021	Rybrewant	amivantamab-vmjw	Nowotwór płuc
2021	Trodelvy	sacituzumab govitecan	Nowotwór piersi
2021	Tukyasa	tucatinib	Nowotwór piersi
2020	Ayvakyt	avapritinib	Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego
2020	Blenrep	belantamab mafodotin	Szpiczak plazmocytowy
2020	Calquence	acalabrutinib	Przewlekła białaczka limfocytowa
2020	Daurismo	glasdegib	Ostra białaczka szpikowa
2020	Nubeqa	darolutamide	Nowotwór prostaty

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2020	Piqray	alpelisib	Nowotwór piersi
2020	Polivy	polatuzumab vedotin	Chłoniak
2020	Rozlytrek	entrectinib	Nowotwór płuc
2020	Sarclisa	isatuximab	Szpiczak plazmocytowy
2020	Tecartus	T-cells	Chłoniak
2019	Besremi	ropeginterferon alfa-2b	Policytemia
2019	Erleada	apalutamide	Nowotwór prostaty
2019	Libtayo	cemiplimab	Nowotwór skóry
2019	Lorviqua	lorlatinib	Nowotwór płuc
2019	Talzenna	talazoparib	Nowotwór piersi
2019	Vitrakvi	larotrectinib	Guzy lite
2019	Vizimpro	dacomitinib	Nowotwór płuc
2019	Xospata	gilteritinib	Ostra białaczka szpikowa
2018	Alunbrig	Brigatinib	Nowotwór płuc
2018	Braftovi	encorafenib	Czerniak
2018	Imfinzi	durvalumab	Nowotwór płuc
2018	Kymriah	tisagenlecleucel	Chłoniak/Ostra białaczka limfoblastyczna
2018	Mektovi	binimetinib	Czerniak
2018	Mylotarg	gemtuzumab ozogamicin	Białaczka
2018	Nerlynx	neratinib	Nowotwór piersi
2018	Poteligeo	mogamulizumab	Chłoniak/Zespół Sézary'ego
2018	Rubraca	rucaparib	Nowotwór jajników
2018	Verzenio	abemaciclib	Nowotwór piersi
2018	Yescarta	axicabtagene ciloleucel	Chłoniak
2017	Alecensa	alectinib	Nowotwór płuc
2017	Bavencio	avelumab	Nowotwór skóry
2017	Besponsa	inotuzumab ozogamicin	Ostra białaczka limfoblastyczna
2017	Fotivda	tivozanib	Nowotwór nerki
2017	Kisqali	ribociclib	Nowotwór piersi

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2017	Lutathera	lutetium (177Lu) oxodotreotide	Nowotwory neuroendokrynne
2017	Tookad	padeliporfin	Nowotwór prostaty
2017	Zejula	niraparib	Nowotwór jajników
2017	Qarziba	dinutuximab beta	Neuroblastoma
2017	Tecentriq	atezolizumab	Nowotwór płuc, Nowotwór pęcherza moczowego
2017	Rydapt	midostaurin	Nowotwór mieloproliferacyjny/Ostra białaczka szpikowa
2016	Portrazza	necitumumab	Nowotwór płuc
2016	Tagrisso	osimertinib	Nowotwór płuc
2016	Darzalex	daratumumab	Szpiczak plazmocytowy
2016	Empliciti	elotuzumab	Szpiczak plazmocytowy
2016	Ibrance	palbociclib	Nowotwór piersi
2016	Lartruvo	olaratumab	Mięsak
2016	Lonsurf	trifluridine / tipiracil	Nowotwór jelita grubego
2016	Ninlaro	ixazomib	Szpiczak plazmocytowy
2016	Venclyxto	venetoclax	Przewlekła białaczka limfocytowa
2015	Blinicyto	blinatumomab	Ostra białaczka limfoblastyczna
2015	Cotellic	cobimetinib	Czerniak
2015	Farydak	panobinostat	Szpiczak plazmocytowy
2015	Imlygic	talimogene laherparepvec	Czerniak
2015	Keytruda	pembrolizumab	Czerniak
2015	Kyprolis	carfilzomib	Szpiczak plazmocytowy
2015	Lenvima	lenvatinib	Nowotwór tarczycy
2015	Odomzo	sonidegib	Nowotwór skóry
2015	Opdivo	nivolumab	Czerniak
2015	Unituxin	dinutuximab	Neuroblastoma
2015	Zykadia	ceritinib	Nowotwór płuc

## Rejestracje FDA nowych leków stosowanych w leczeniu chorób nowotworowych w latach 2015-2021

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2021	Cosela	trilaciclib	Nowotwór płuc
2021	Exkivity	mobocertinib	Nowotwór płuc
2021	Fotivda	tivozanib	Rak nerkowokomórkowy
2021	Jemperli	dostarlimab-gxly	Rak endometrium
2021	Lumakras	sotorasib	Nowotwór płuc
2021	Pepaxto	melphalan flufenamide	Szpiczak mnogi
2021	Rybrevant	amivantamab-vmjw	Nowotwór płuc
2021	Rylaze	asparaginase erwinia chrysanthemi	Ostra białaczka limfoblastyczna, chłoniak
2021	Scemblix	asciminib	Białaczka szpikowa
2021	Tepmetko	tepotinib	Nowotwór płuc
2021	Tivdak	tisotumab vedotin-tftv	Nowotwory głowy i szyi
2021	Truseltiq	infigratinib	Rak dróg żółciowych
2021	Ukoniq	umbralisib	Chłoniaki
2021	Zynlonta	loncastuximab tesirine-lpyl	Chłoniak z komórek B
2020	Ayvakit	avapritinib	Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego
2020	Blenrep	belantamab mafodotin-blmf	Szpiczak plazmocytowy
2020	Cerianna	fluoroestradiol F 18	Nowotwór piersi
2020	Danyelza	naxitamab-ggqk	Neuroblastoma
2020	Detectnet	copper Cu-64 dotatate	Nowotwory neuroendokrynne
2020	Gallium Ga 68 PSMA-11	gallium Ga 68 PSMA-11	Nowotwór prostaty

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2020	Gavreto	pralsetinib	Nowotwór płuc
2020	Margenza	margetuximab-cmkb	Nowotwór piersi
2020	Koselugo	selumetinib	Nerwiakowłóknियोatość
2020	Monjuvi	tafasitamab-cxix	Chłoniak z komórek B
2020	Orgovyx	relugolix	Nowotwór prostaty
2020	Pemazyre	pemigatinib	Nowotwory dróg żółciowych
2020	Qinlock	ripretinib	Nowotwór podścieliskowy przewodu pokarmowego
2020	Retevmo	selpercatinib	Nowotwór płuc/Nowotwór tarczycy
2020	Sarclisa	isatuximab-irfc	Szpiczak plazmocytowy
2020	Tabrecta	capmatinib	Nowotwór płuc
2020	Tazverik	tazemetostat	Mięsak tkanek miękkich
2020	Trodelyv	sacituzumab govitecan-hziy	Nowotwór piersi
2020	Tukysa	tucatinib	Nowotwór piersi
2020	Zepzelca	lurbinctedin	Nowotwór płuc
2019	Balversa	erdafitinib	Nowotwór pęcherza moczowego
2019	Brukinsa	zanubrutinib	Chłoniak z komórek płaszczka
2019	Enhertu	fam-trastuzumab deruxtecan-nxki	Nowotwór piersi
2019	Ga 68 DOTATOC	Ga 68 DOTATOC	Nowotwory neuroendokrynne
2019	Inrebic	fedratinib	Nowotwór mieloproliferacyjny
2019	Nubeqa	darolutamide	Nowotwór prostaty
2019	Padcev	enfortumab vedotin-ejfv	Nowotwór pęcherza moczowego
2019	Piqray	alpelisib	Nowotwór piersi
2019	Polivy	polatuzumab vedotin-piiq	Chłoniak z komórek B
2019	Rozlytrek	entrectinib	Nowotwór płuc
2019	Turalio	pexidartinib	Guz olbrzymiokomórkowy kości
2019	Xpovio	selinexor	Szpiczak plazmocytowy
2018	Elzonris	tagraxofusp-erzs	Plazmocytoidalny nowotwór komórek dendrytycznych (BPDCN)

Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2018	Asparlas	calaspargase pegol-mknl	Ostra białaczka limfoblastyczna
2018	Xospata	gilteritinib	Ostra białaczka szpikowa
2018	Vitrakvi	larotrectinib	Inne guzy lite
2018	Daurismo	glasdegib	Ostra białaczka szpikowa
2018	Lorbrena	lorlatinib	Nowotwór płuc
2018	Talzenna	talazoparib	Nowotwór piersi
2018	Libtayo	cemiplimab-rwlc	Nowotwór skóry
2018	Vizimpro	dacomitinib	Nowotwór płuc
2018	Copiktra	duvelisib	Przewlekła białaczka limfocytowa/Chłoniak nieziarniczny
2018	Lumoxiti	moxetumomab pasudotox-tdfk	Białaczka włochatokomórkowa
2018	Poteligeo	mogamulizumab-kpkc	Chłoniak nieziarniczny
2018	Tibsovo	ivosidenib	Ostra białaczka szpikowa
2018	Braftovi	encorafenib	Czerniak
2018	Mektovi	binimetinib	Czerniak
2018	Erleada	apalutamide	Nowotwór prostaty
2018	Lutathera	lutetium Lu 177 dotatate	Nowotwory neuroendokrynne
2017	Calquence	acalabrutinib	Chłoniak z komórek płaszczka
2017	Verzenio	abemaciclib	Nowotwór piersi
2017	Aliqopa	copanlisib	Chłoniak nieziarniczny
2017	Besponsa	inotuzumab ozogamicin	Ostra białaczka limfoblastyczna
2017	Idhifa	enasidenib	Ostra białaczka szpikowa
2017	Nerlynx	neratinib maleate	Nowotwór piersi
2017	Imfinzi	durvalumab	Nowotwór pęcherza moczowego
2017	Rydapt	midostaurin	Ostra białaczka szpikowa/Nowotwór mieloproliferacyjny
2017	Alunbrig	brigatinib	Nowotwór płuc
2017	Zejula	niraparib	Nowotwór jajnika
2017	Bavencio	avelumab	Nowotwór komórek Merkel



Rok	Nazwa handlowa	Nazwa międzynarodowa	Rodzaj nowotworu
2017	Kisqali	ribociclib	Nowotwór piersi
2016	Rubraca	rucaparib	Nowotwór jajnika
2016	Lartruvo	olaratumab	Mięsak tkanek miękkich
2016	NETSPOT	gallium Ga 68 dotatate	Nowotwory neuroendokrynne
2016	Axumin	fluciclovine F 18	Nowotwór prostaty
2016	Tecentriq	atezolizumab	Nowotwór pęcherza moczowego
2016	Venclexta	venetoclax	Przewlekła białaczka limfocytowa
2015	Alecensa	alectinib	Nowotwór płuc
2015	Empliciti	elotuzumab	Szpiczak plazmocytowy
2015	Portrazza	necitumumab	Nowotwór płuc
2015	Ninlaro	ixazomib	Szpiczak plazmocytowy
2015	Darzalex	daratumumab	Szpiczak plazmocytowy
2015	Tagrisso	osimertinib	Nowotwór płuc
2015	Cotellic	cobimetinib	Czerniak
2015	Yondelis	trabectedin	Mięsak tkanek miękkich
2015	Lonsurf	trifluridine and tipiracil	Nowotwór jelita grubego
2015	Odomzo	sonidegib	Nowotwór skóry
2015	Unituxin	dinutuximab	Neuroblastoma
2015	Farydak	panobinostat	Szpiczak plazmocytowy
2015	Lenvima	lenvatinib	Nowotwór tarczycy
2015	Ibrance	palbociclib	Nowotwór piersi



Partnerzy:



© Wydawcą raportu jest  
Modern Healthcare Institute sp. z o.o.

Wszelkie prawa zastrzeżone

Wydawca oraz autorzy nie ponoszą odpowiedzialności za jakiegokolwiek ewentualne decyzje, które zostaną podjęte na podstawie niniejszego opracowania.

Niniejszy raport jest objęty prawami autorskimi.

Zabronione jest powielanie i kopiowanie oraz wykorzystywanie w takiej formie części lub całości raportu, w tym wykresów i tabel, na jakimkolwiek polu eksploatacji bez pisemnej zgody wydawcy.

Cytowanie fragmentów lub danych zawartych w raporcie powinno zawierać adnotację o źródle.

Treści zawarte w niniejszym raporcie nie mają na celu promowania produktów leczniczych. Zostały zawarte jedynie w celach informacyjno-edukacyjnych.

## **MODERN HEALTHCARE INSTITUTE**

Modern Healthcare Institute sp. z o.o.  
ul. Zabłocińska 6 lok. 46, 01-697 Warszawa

REGON: 368041956 NIP: 5223098085

KRS: 0000690383

prezes zarządu: Krzysztof Jakubiak

mhi@mzdrowie.pl      www.mzdrowie.pl

© Modern Healthcare Institute 2022

---

---

**MODERN HEALTHCARE INSTITUTE**

---

---

2022