Minister
Zdrowia

PLR2.050.22.2026.RB
Warszawa, 17 kwietnia 2026

Pani
Małgorzata Kidawa-Błońska
Marszałek Senatu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowna Pani Marszałek,
w odpowiedzi na oświadczenie złożone przez senatora Piotra Masłowskiego podczas 55. Posiedzenia Senatu RP w dniu 27 marca 2026 r., w sprawie objęcia refundacją leku Agamree w leczeniu chorych na dystrofię mięśniową Duchenne'a (DMD), Minister Zdrowia uprzejmie prosi o przyjęcie poniższych informacji.

Procedurę obejmowania refundacją leków ze środków publicznych reguluje ustawa o refundacji[1] i wszczynana jest na wniosek**,** który wnieść może do Ministra Zdrowia podmiot odpowiedzialny, jego przedstawiciel lub importer.
Wniosek proceduje się zgodnie z zapisami ww. ustawy, która wskazuje, że w przypadku leku, dla którego został złożony wniosek i który nie posiada odpowiednika refundowanego we wnioskowanym wskazaniu, Minister Zdrowia przesyła wniosek wraz ze złożoną dokumentacją (w tym analizami HTA, zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c ustawy o refundacji czyli dowodami naukowymi przedstawionymi przez wnioskodawcę, które świadczą np. o tym, czy dany lek jest bezpieczny i skuteczny dla pacjenta w danym wskazaniu czy analizę wpływu na budżet płatnika publicznego) Prezesowi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) w celu przygotowania: analizy weryfikacyjnej Agencji, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa.
W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej (KE), która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje m.in. w zakresie ustalenia ceny zbytu netto.

[1] Ustawa 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.), zwana dalej „ustawą o refundacji”.~~

telefon: +48 22 250 01 46
adres email: kancelaria@mz.gov.pl
www.gov.pl/zdrowie
ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz uchwałą Komisji Ekonomicznej, **uwzględniając kryteria określone w art. 12 wspomnianej ustawy[2]**, Minister Zdrowia podejmie decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją leku we wnioskowanym wskazaniu.

Obecnie w procesie objęcia refundacją systemową jest lek Agamree (vamorolonum).

Lek ten posiada pozwolenie na dopuszczenie do obrotu na terytorium Unii Europejskiej wydane 14 grudnia 2023 r. jako lek („zmodyfikowny steryd") o działaniu przypominającym osiągane dotychczas przez klasyczne glikokortykoidy i jest aktualnie dostępny na polskim rynku. Podmiot odpowiedzialny złożył wniosek o objęcie refundacją leku Agamree w programie lekowym LECZENIE CHORYCH Z DYSTROFIĄ MIĘŚNIOWĄ DUCHENNE'A (ICD-10: G71.0) **dla pacjentów w wieku od 4 lat i powyżej.**

Wniosek dla leku Agamree (wamorolon) jest procedowany zgodnie z terminami i zapisami ustawy o refundacji.

Należy także podkreślić, że Minister Zdrowia obejmując lek refundacją bierze pod uwagę warunki finansowe równoważące słuszny interes wszystkich pacjentów i wnioskodawcy oraz uwzględniając przy tym możliwości płatnika publicznego. Środki finansowe przeznaczone na refundację muszą być dysponowane w sposób sprawiedliwy i racjonalny, bowiem każda finansowana technologia generuje wydatki, które mogłyby zostać przeznaczone na finasowanie innych terapii zaspokajających potrzeby zdrowotne pacjentów.

Odnosząc się do przedstawionej przez Pana Senatora informacji kwestionującej merytoryczne uzasadnienie rekomendacji wydanej przez Prezesa AOTMiT w odniesieniu do warunku wielkości populacji, pozwalam sobie zwrócić uwagę, że AOTMiT oraz Rada Przejrzystości są niezależnymi instytucjami, których ustawowym zadaniem jest

---

[2] 1) stanowiska Komisji Ekonomicznej, o której mowa w art. 17,
2) rekomendacji Prezesa Agencji, o której mowa w art. 35 ust. 6,
3) istotności stanu klinicznego, którego dotyczy wniosek o objęcie refundacją,
4) skuteczności klinicznej i praktycznej,
5) bezpieczeństwa stosowania,
6) relacji korzyści zdrowotnych do ryzyka stosowania,
7) stosunku kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych dotychczas refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, w porównaniu z wnioskowanym,
8) konkurencyjności cenowej,
9) wpływu na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców,
10) istnienia alternatywnej technologii medycznej, w rozumieniu ustawy o świadczeniach oraz jej efektywności klinicznej i bezpieczeństwa stosowania,
11) wiarygodności i precyzji oszacowań kryteriów, o których mowa w pkt 3-10,
12) mapy potrzeb zdrowotnych, o której mowa w art. 95a ust. 1 ustawy o świadczeniach,
13) wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto (Dz.U. z 2021 r. poz. 151), a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia,
14) zobowiązania do zapewnienia ciągłości dostaw, o którym mowa w art. 25 pkt 4
- biorąc pod uwagę inne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym procedury medyczne, które mogą być zastąpione przez wnioskowany lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrób medyczny.

telefon: +48 22 250 01 46
adres email: kancelaria@mz.gov.pl
www.gov.pl/zdrowie

ul. Miodowa 15
00-952 Warszawa

przygotowywanie ocen i rekomendacji w oparciu o najwyższe standardy analizy naukowej. Proces przygotowywania rekomendacji jest transparentny, wieloetapowy i oparty na rzetelnej ocenie dostępnych dowodów klinicznych oraz analiz ekonomicznych. Uwzględnia on stanowiska ekspertów, wyniki badań naukowych oraz obowiązujące standardy medycyny opartej na faktach (evidence-based medicine).

W tym kontekście przedstawiam poniżej następujące informacje[3]:

Stanowisko Rady Przejrzystości Negatywne	Rekomendacja Prezesa AOTMiT Negatywne/Pozytywne warunkowe
nr 25/2026 z dnia 23 lutego 2026 roku	**nr 30/2026 z dnia 24 lutego 2026 r.**
Rada Przejrzystości **uznaje za niezasadne** objęcie refundacją produktu leczniczego Agamree (vamorolonum), zawiesina doustna, 40 mg/ml, 1 butelka, GTIN: 07640137910303, w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a (DMD) (ICD-10: G71.0)". **Główne argumenty decyzji:** • Słaba jakość naukowych dowodów na lepsze efekty terapeutyczne w porównaniu z terapią kortykosteroidami. • Dowody nie odzwierciedlają wystarczająco populacji planowanej do włączenia w PL. • Ograniczone dane dotyczące długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa wamorolonu. • Wysokie koszty dla płatnika. • • Refundacja tylko w 2 krajach europejskich.	Prezes Agencji **nie rekomenduje** objęcia refundacją produktu Agamree (wamorolon) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a (DMD) (ICD-10: G71.0)" na zaproponowanych warunkach. Równocześnie Prezes Agencji **rekomenduje objęcie refundacją produktu Agamree** (wamorolon) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z dystrofią mięśniową Duchenne'a (DMD) (ICD-10: G71.0)", **wyłącznie w populacji pacjentów zbliżonej do populacji z badania rejestracyjnego pod kątem stopnia sprawności (tj. pacjentów potrafiących samodzielnie chodzić, z wynikiem testu czasu wstawania z leżenia [TTSTAND]** **Uwaga: ww. zapis nie wskazuje na ograniczenie stosowania leku w populacji od 4 do 7 lat, tylko na ograniczenie populacji pod kątem stopnia sprawności.**

Należy zauważyć, że lek Agamree jest zmodyfikownym kortykosteroidem, który został stworzony w celu utrzymania przeciwzapalnych właściwości klasycznych sterydów, przy

[3] https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2025/1054-materialy-2025/9378-220-2025-zlc

jednoczesnym zminimalizowaniu typowych dla nich skutków ubocznych, co może być istotne podczas długotrwałego stosowania.

Zgodnie z opinią AOTMiT **wamorolon (WAM) nie wykazał lepszych efektów terapeutycznych w porównaniu z terapią innymi kortykosteroidami**, czyli jego skuteczność jest na takim samym poziomie jak komparatory[4] - stosowane obecnie u chorych z DMD leki: prednizonu (PDN) i deflazakortu (DFZ). Są to dużo tańsze alternatywne sterydy stosowane w DMD. Koszt roczny ich stosowania w leczeniu jednego pacjenta jest wielokrotnie niższy (uzależniony od masy ciała) i np. u pacjenta o wadze 60 kg może wynosić dla prednizonu 1 196,73 zł[5].

Jednocześnie należy także podkreślić, dla wamorolonu firma przedstawiła ograniczone dane dotyczące długoterminowej skuteczności i bezpieczeństwa.

Podsumowując, wniosek refundacyjny dla leku Agamree (wamorolon) jest obecnie procedowany zgodnie z terminami i zapisami ustawy o refundacji. Minister Zdrowia podejmie decyzje w ramach przysługujących mu kompetencji, działając w sposób niezależny, na podstawie i w granicach obowiązującego prawa.
Proces decyzyjny opiera się na analizie dostępnych danych naukowych, opinii wyspecjalizowanych instytucji eksperckich oraz przesłanek klinicznych i ekonomicznych. Minister Zdrowia kieruje się przy tym zasadą zapewnienia pacjentom dostępu do skutecznych i bezpiecznych terapii, przy jednoczesnym uwzględnieniu racjonalnego gospodarowania środkami publicznymi.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Katarzyna Kacperczyk
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/

---

[4] *Wyniki analizy skuteczności WAM względem zarówno PDN, jak i DFZ, wskazują na brak IS różnic w zakresie parametrów oceny funkcji motorycznych dla wszystkich analizowanych punktów końcowych (p.k.). IS różnice wykazano jedynie w zakresie zmian w ocenie funkcji behawioralnych* **(lęk/depresja)** w ocenie opiekunów w skali PARS III wyłącznie dla porównania WAM 2 mg/kg względem PDN w dawce 0,75 mg/kg. **Analiza porównawcza bezpieczeństwa** wskazuje natomiast na **występowanie IS** *różnic na korzyść WAM w zakresie: przyrostu w percentylach wzrostu (vs PDN, vs DFZ,), zmian stężenia markerów obrotu kostnego (vs PDN), Ponadto, wyniki RCT dla WAM względem PDN wskazują na IS różnice na niekorzyść WAM 6 mg/kg w zakresie supresji funkcji nadnerczy. Nie odnotowano IS różnic w zakresie: parametrów zmian masy ciała – BMI z-score (vs PDN, vs DFZ), jak również ocenianych zdarzeń niepożądanych (vs PDN).*

[5] Koszt wyliczony na podstawie cena detalicznej Encortonu 5 mg 100 tabl. z obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2026 r. https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenia-ministra-zdrowia-lista-lekow-refundowanych