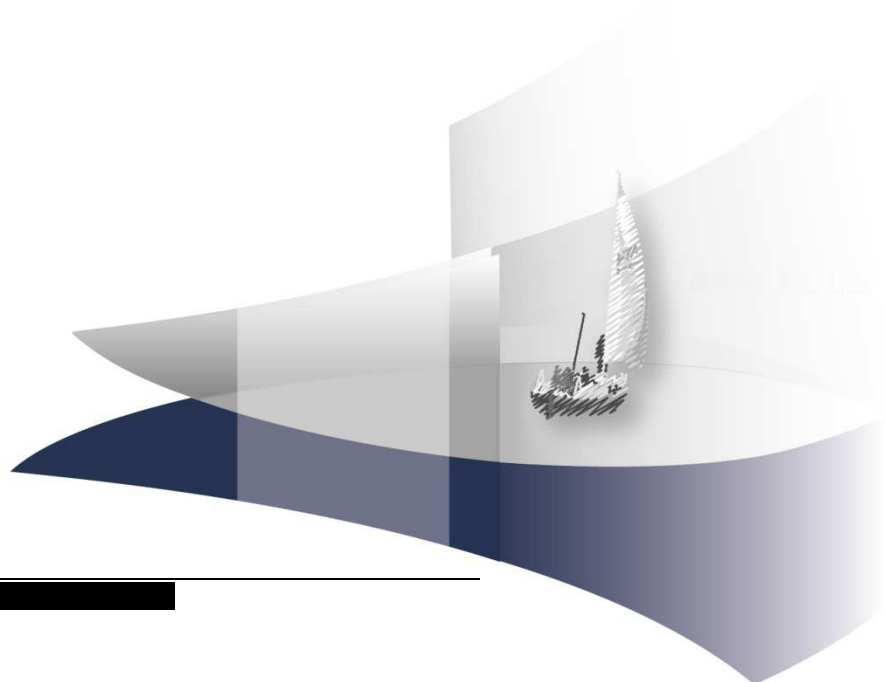


**ANALIZA WPŁYWU  
NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA**

**TOKSYNA BOTULINOWA TYPU A (DYSPO<sup>®</sup>) W LECZENIU  
SPASTYCZNOŚCI KOŃCZYNY GÓRNEJ  
PO UDARZE MÓZGU U DOROSŁYCH**

Wersja 1.0



**HTA Consulting spółka z ograniczoną odpowiedzialnością spółka komandytowa**

ul. Starowiślna 17/3

31-038 Kraków

Tel.: +48 (0) 12 421-88-32;

Faks: +48 (0) 12 395-38-32

www.hta.pl

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

**Ipsen Poland Sp. z o.o.**

Al. Jana Pawła II 29

00-867 Warszawa

## SPIS TREŚCI

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>5</b>
<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Wprowadzenie .....</b>	<b>8</b>
1.1. Cel .....	8
1.2. Problem zdrowotny .....	8
1.3. Stan aktualny .....	9
1.4. Technologia oceniana .....	9
1.5. Projekt programu lekowego .....	10
1.6. Interwencje alternatywne .....	11
1.7. Kwalifikacja do grupy limitowej .....	12
1.8. Sposób przeprowadzenia analizy .....	13
<b>2. Metodyka i dane źródłowe .....</b>	<b>14</b>
2.1. Perspektywa analizy .....	14
2.2. Horyzont czasowy analizy .....	14
2.3. Populacja, w której wnioskowana technologia może być zastosowana .....	14
2.4. Populacja, w której preparat Dysport jest obecnie stosowany .....	15
2.5. Populacja docelowa .....	17
2.6. Rozpowszechnienie .....	20
2.7. Koszty .....	20
2.8. Dawkowanie i częstotliwość podania .....	22
2.9. Przerwanie terapii .....	23
2.10. Śmiertelność .....	24
2.11. Źródła danych – podsumowanie .....	25
2.12. ██████████ .....	26
2.13. Analiza wrażliwości .....	26
<b>3. Wyniki .....</b>	<b>28</b>
3.1. Liczba pacjentów leczonych .....	28
3.2. Wydatki NFZ w scenariuszu istniejącym .....	28
3.3. Wydatki NFZ w scenariuszu nowym .....	28
3.4. Wydatki inkrementalne NFZ .....	29

<b>4. Analiza wrażliwości</b> .....	<b>31</b>
4.1. Scenariusze analizy wrażliwości.....	31
4.2. Wyniki.....	32
4.3. Podsumowanie.....	32
<b>5. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia</b> .....	<b>34</b>
5.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych .....	34
5.2. Aspekty etyczne i społeczne.....	34
<b>6. Podsumowanie i wnioski</b> .....	<b>36</b>
<b>7. Ograniczenia</b> .....	<b>37</b>
<b>8. Dyskusja</b> .....	<b>38</b>
<b>9. Bibliografia</b> .....	<b>41</b>
<b>10. Spis tabel</b> .....	<b>43</b>
<b>11. Aneks</b> .....	<b>44</b>
11.1. Strategie wyszukiwania danych .....	44
11.2. Parametry populacyjne .....	44
<b>12. Zgodność z minimalnymi wymaganiami</b> .....	<b>53</b>

## INDEKS SKRÓTÓW

<b>AOTM</b>	Agencja Oceny Technologii Medycznych w Polsce
<b>ChPL</b>	Charakterystyka Produktu Leczniczego
<b>IU</b>	Jednostki miary ( <i>Internationa Units</i> )
<b>JGP</b>	Jednorodne Grupy Pacjentów
<b>MAS</b>	Zmodyfikowana skala Ashwortha ( <i>Modified Ashworth Scale</i> )
<b>NFZ</b>	Narodowy Fundusz Zdrowia
<b>PL</b>	Program lekowy
<b>RSS</b>	Instrument dzielenia ryzyka

## STRESZCZENIE

### ■ Cel

Celem analizy wpływu na budżet jest prognoza wydatków płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia) związanych z finansowaniem toksyny botulinowej typu A (preparat Dysport®) w terapii spastyczności kończyny górnej u dorosłych pacjentów po udarze mózgu w warunkach polskich.

### ■ Metodyka

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia / analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia, NFZ) w 3-letnim horyzoncie czasowym (2014-2016). Analizę opracowano przy założeniu, że preparat Dysport będzie refundowany począwszy od 1 stycznia 2014 roku w ramach programu lekowego „Leczenie spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu”.

Rozważono dwa scenariusze analizy: istniejący, w którym preparat Dysport nie jest finansowany ze środków publicznych we wskazaniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu, oraz nowy, w którym preparat Dysport jest refundowany w ramach programu lekowego w populacji docelowej.

Populację docelową dla preparatu Dysport określono zgodnie z kryteriami włączenia do programu, jako pacjentów spełniających następujące warunki:

[Redacted text block]

oraz niespełniających kryteriów wyłączenia.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDAKTOWANE]

Uwzględniono wyłącznie bezpośrednie koszty związane z refundacją leków, diagnostyką, monitorowaniem terapii i podaniem leków.

W analizie uwzględniono instrument dzielenia ryzyka zaproponowany przez Zamawiającego. Wyniki analizy przedstawiono przy uwzględnieniu i bez uwzględnienia tego instrumentu.

Wyniki dla obu scenariuszy (istniejącego i nowego) przedstawiono w postaci wydatków całkowitych oraz z podziałem na poszczególne kategorie kosztowe dla 3 kolejnych lat kalendarzowych 2014-2016. Przedstawiono ponadto wydatki inkrementalne, stanowiące różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu istniejącym i nowym.

Wpływ niepewnych założeń na wyniki oceniono w ramach analizy wrażliwości, w ramach tych obliczeń wskazano minimalny i maksymalny wariant oszacowania wpływu na budżet.

## ■ Wyniki

### Liczba pacjentów kwalifikujących się do programu

[REDAKTOWANE]

### Wpływ na budżet

W scenariuszu istniejącym płatnik publiczny nie ponosi kosztów związanych z terapią toksyną botulinową typu A.

W scenariuszu nowym, przy uwzględnieniu proponowanej umowy podziału ryzyka, całkowite wydatki związane z realizacją programu lekowego wyniosą [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

Wydatki inkrementalne, przy uwzględnieniu proponowanej umowy podziału ryzyka, stanowiące różnice między wydatkami w scenariuszu nowym i istniejącym [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

## ■ Wnioski

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

# 1. WPROWADZENIE

## 1.1. Cel

Celem analizy wpływu na budżet jest prognoza wydatków płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia) związanych z finansowaniem toksyny botulinowej typu A (preparat Dysport®) w terapii spastyczności kończyny górnej u dorosłych pacjentów po udarze mózgu w warunkach polskich.

## 1.2. Problem zdrowotny

Spastyczność jest zaburzeniem kontroli czuciowo-ruchowej napięcia mięśniowego, charakteryzującym się czasową lub trwałą, odbywającą się niezależnie od woli, nasiloną aktywnością ruchową. Spastyczność jest związana z uszkodzeniem górnego motoneuronu. Charakterystyczny dla tego schorzenia jest stopniowy, narastający wzrost napięcia mięśnia w zajętej kończynie, ustępujący gwałtownie przy jego biernym rozciąganiu.

Kliniczna ocena nasilenia spastyczności najczęściej opiera się głównie na skalach pomiarowych. Narzędzia te wykorzystywane są w celu określenia oporu podczas wykonywania ruchu biernego, oceny zakresu ruchu i postawy ciała w spoczynku, a także oceny innych zjawisk towarzyszących spastyczności, np. gwałtownych skurczy. Do oceny napięcia mięśniowego najczęściej wykorzystywane są skala Ashwortha (ASH) oraz zmodyfikowana skala Ashwortha (MAS). Skala Ashwortha to 5-stopniowa skala, która przyjmuje wartości od 0 do 4, gdzie wartość 0 oznacza brak zwiększonego napięcia mięśniowego, a wartość 4 maksymalne napięcie mięśniowe opisywane jako kończyna usztywniona w zgięciu lub wyproście. Z kolei zmodyfikowana skala Ashwortha wyróżnia 6 stopni napięcia mięśniowego. W skali uwzględniono dodatkowy stopień 1+, jako stopień pośredni pomiędzy stopniami 1 i 2. Wprowadzenie dodatkowego stopnia nasilenia związane było z poszerzeniem zakresu oryginalnej skali o ocenę szybkości poruszania kończyną.

Spastyczność to schorzenie, któremu towarzyszy wiele różnorodnych objawów klinicznych. Objawy te dzielone są na dodatnie oraz negatywne. Do objawów dodatnich zaliczane są: wygórowane odruchy ścięgniste, wzmożony opór podczas szybkiego, biernego ruchu, skurcze kloniczne mięśni (klonusy), natomiast do objawów negatywnych: obniżenie siły mięśniowej, ograniczenie mobilności, utrata wykonywania odruchu zamierzonego na rzecz utrwalonych patologicznych wzorców ruchowych. Cechą charakterystyczną spastyczności jest tzw. objaw scyzorykowy, polegający na narastaniu oporu w zmienionej chorobowo kończynie do pewnego punktu, po którym obserwowane napięcie ustępuje. Ponadto wśród innych objawów obserwowanych w przebiegu spastyczności wymienia się: utratę



selektywnej kontroli nad pojedynczymi ruchami, utratę sprawności oraz utratę możliwości frakcjonowania ruchów palców.

Poudarowa spastyczność kończyny górnej stanowi poważne ograniczenie w życiu pacjenta. Pod względem klinicznym może być przyczyną znacznego pogorszenia jakości życia wynikającego z: ograniczenia funkcji, bólu i dyskomfortu, trudności w rehabilitacji, trudności w ubieraniu się lub utrzymaniu higieny, a pod względem medycznym stać się przyczyną wielu powikłań, w tym: zespołu cieśni nadgarstka, zaniku mięśni i dalszego ograniczenia funkcji, trwałych przykurczów oraz zakrzepicy żyłnej.

### **1.3. Stan aktualny**

Uzyskanie informacji na temat aktualnej praktyki w leczeniu chorych ze spastycznością kończyny górnej w Polsce jest utrudnione ze względu na znaczne zróżnicowanie etiologiczne omawianego schorzenia, jak również brak doniesień naukowych opisujących to zagadnienie. Dlatego też potrzebne informacje uzyskano opierając się na opiniach ekspertów opisanych w stanowisku Rady Konsultacyjnej AOTM nr 23/07/2009 z dnia 30 marca 2009 roku w sprawie finansowania preparatów Dysport i Botox. [1]

Zgodnie ze stanowiskami ekspertów zawartymi w wyżej wymienionym dokumencie, obecna terapia standardowa w Polsce w przypadku chorych ze spastycznością poudarową kończyny górnej polega na zastosowaniu rehabilitacji, uzupełnianej przez leczenie farmakologiczne. W ramach leczenia farmakologicznego zdaniem ekspertów stosowane są doustne środki farmakologiczne o działaniu ogólnoustrojowym oraz leki podawane dokanałowo. Do najczęściej stosowanych doustnych środków antyspastycznych należą: tizanidyna, baklofen, diazepam, tetrazepam, tolperizon, natomiast spośród leków podawanych dokanałowo najczęściej stosuje się baklofen [1]. Z kolei na podstawie opublikowanego stanowiska Rady Konsultacyjnej AOTM nr 81/2011 z dnia 19 września 2011 roku leczenie dokanałowe za pomocą pompy baklofenowej stosuje się w przypadku spastyczności odpornej na leczenie farmakologiczne. Należy również dodać, że utworzony na podstawie tej rekomendacji Rady Konsultacyjnej AOTM program lekowy nie przewiduje leczenia za pomocą pompy baklofenowej pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu. [2]

### **1.4. Technologia oceniana**

Toksyna botulinowa typu A w postaci preparatu Dysport wskazana jest w leczeniu spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu u osób dorosłych. Ponadto preparat posiada rejestrację także w innych wskazaniach, takich jak: dynamiczna stopa końska spowodowana spastycznością u chodzących dzieci w wieku 2 lub więcej lat z porażeniem mózgowym dziecięcym, kurczowy kręcz szyi u dorosłych, kurcz powiek u dorosłych, połowiczny kurcz twarzy u dorosłych oraz nadmierna potliwość pach.

Spośród dostępnych w Polsce preparatów toksyny botulinowej typu A, preparat Dysport ma najszersze wskazania związane z terapią spastyczności kończyny górnej po udarze. Preparat ten jako jedyny może być zastosowany w celu redukcji napięcia mięśniowego w części ramiennej i przedramiennej.

Produkt wstrzykuje się domięśniowo. [REDACTED]

[REDACTED]. Wstrzyknięcie toksyny botulinowej powoduje czasowe częściowe porażenie mięśni i hamuje przekazywanie impulsów nerwowych między nerwem a mięśniem.

Preparat Dysport został dopuszczony do obrotu na terenie Polski 18 września 1997 roku na podstawie pozwolenia nr R/7292. Podmiot odpowiedzialny: Ipsen Limited. Obecnie preparat Dysport nie jest finansowany ze środków publicznych w Polsce w leczeniu spastyczności kończyny górnej u dorosłych po udarze mózgu.

Szczegółowy opis ocenianej interwencji przedstawiono w analizie problemu decyzyjnego i analizie efektywności klinicznej [3].

## 1.5. Projekt programu lekowego

Celem programu lekowego jest poprawa sprawności ruchowej pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu.

Do programu lekowego kwalifikują się pacjenci spełniający następujące kryteria:

- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]

Kryteria wykluczenia z programu obejmują:

- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]

Terapia toksyną botulinową powinna być uzupełniona programem usprawniania (rehabilitacji) w zakresie i formie zależnych od indywidualnych potrzeb i możliwości chorego.

[Redacted text block]

[Redacted] Dawka leku powinna być ustalana indywidualnie dla każdego pacjenta i uwzględniać m.in. nasilenie spastyczności, masę mięśniową, zachowaną funkcję kończyny .

Tabela 1.

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

## 1.6. Interwencje alternatywne

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

### 1.7. Kwalifikacja do grupy limitowej

Aktualnie preparaty toksyny botulinowej, w tym Dysport, są finansowane ze środków publicznych w ramach dwóch programów lekowych:

- Leczenie dystonii ogniskowych i połowicznego kurczu twarzy,
- Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym.

Substancje czynne finansowane w ramach tych programów należą do jednej z trzech grup limitowych:

- 1055.1, toksyny botulinowe – 1,
- 1055.2, toksyny botulinowe – 2,
- 1055.3, toksyny botulinowe – 3,

przy czym Dysport jest finansowany w ramach grupy 1055.3, toksyny botulinowe – 3, w skład której nie wchodzi żadne inne preparaty. W chwili obecnej refundowane jest tylko jedno opakowanie preparatu Dysport zawierające 1 fiolkę 500 IU (EAN 5909990729227), tym samym limit finansowania w grupie wyznacza to właśnie opakowanie. Preparat Dysport jest obecnie finansowany z kategorią odpłatności bezpłatne.

## 1.8. Sposób przeprowadzenia analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń, a także przeprowadzenie analiz wrażliwości. Obliczenia przeprowadzono w programie MS Excel 2007.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

1. Zdefiniowano **populację docelową**. Na podstawie odnalezionych źródeł danych oszacowano liczebność populacji docelowej na kolejne lata horyzontu czasowego analizy (liczba pacjentów po udarze kwalifikujących się do rozpoczęcia terapii spastyczności kończyny górnej).
2. Uwzględniając liczbę pacjentów kwalifikujących się do terapii toksyną botulinową typu A oraz śmiertelność wśród pacjentów po udarze (w okresie po rozpoczęciu terapii spastyczności) i częstość przerywania leczenia, oszacowano średnią liczbę pacjentów poddawanych terapii toksyną botulinową typu A, jak również łączną liczbę podań leku oraz wizyt ambulatoryjnych związanych z diagnostyką, monitorowaniem leczenia i podaniem leku w kolejnych latach.
3. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w latach 2014-2016 w przypadku utrzymania **scenariusza istniejącego**, czyli w przypadku braku finansowania toksyny botulinowej typu A ze środków publicznych u pacjentów po udarze ze spastycznością kończyny górnej.
4. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej [REDACTED] dla **scenariusza nowego**, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu toksyny botulinowej typu A ze środków publicznych u pacjentów po udarze ze spastycznością kończyny górnej [REDACTED]
5. Wyznaczono **wydatki inkrementalne**, czyli różnicę w wydatkach pomiędzy scenariuszem nowym a scenariuszem istniejącym. Jeżeli wydatki inkrementalne przyjmują wartości ujemne, oznaczają oszczędności dla płatnika, w przeciwnym razie oznaczają dodatkowe koszty.
6. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla zmiennych, które w największym stopniu wpływają na wyniki analizy wpływu na budżet oraz takich, których oszacowanie charakteryzuje się największą niepewnością.

## 2. METODYKA I DANE ŹRÓDŁOWE

### 2.1. Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych – Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

### 2.2. Horyzont czasowy analizy

Analizę przeprowadzono w 3-letnim horyzoncie czasowym, przy założeniu, że toksyna botulinowa typu A finansowana będzie ze środków publicznych począwszy od [REDACTED]

### 2.3. Populacja, w której wnioskowana technologia może być zastosowana

#### Definicja

Wskazania rejestracyjne preparatu Dysport obejmują:

- dynamiczną stopę końską spowodowaną spastycznością u chodzących dzieci w wieku dwóch lat i starszych z porażeniem mózgowym dziecięcym,
- kurczowy kręcz szyi u dorosłych,
- kurcz powiek u dorosłych,
- połowiczny kurcz twarzy u dorosłych,
- spastyczność kończyny górnej po udarze mózgu u dorosłych,
- nadmierną potliwość pach. [5]

[REDACTED]

#### Liczebność

[REDACTED]

## 2.4. Populacja, w której preparat Dysport jest obecnie stosowany

Toksyna botulinowa typu A (Botox, Dysport, Xeomin) jest obecnie finansowana ze środków publicznych w ramach dwóch programów lekowych: „Leczenie dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy” i „Leczenie spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym”. W poniższej tabeli (Tabela 3) przedstawiono dane ze sprawozdania z działalności NFZ za II kwartał 2011 r., sprawozdania z działalności NFZ za IV kwartał 2011 r i sprawozdania z działalności NFZ za II kwartał 2012 r [6–8] dotyczące zużycia toksyny botulinowej związanego z prowadzeniem programu.

Tabela 3.  
Liczba osób leczonych w ramach programów lekowych toksyną botulinową i zużycie leku

Komórka organizacyjna	2011 – I połowa		2011 – cały rok		2012 – I połowa	
	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób
<b>Program leczenia dystonii ogniskowych i połowiczego kurczu twarzy</b>						
Poradnia neurologiczna	591 176,75	2524	1 317 844,69	3031	599 135,44	2560
Poradnia rehabilitacyjna	2 150	26	6 145,50	31	2 800,00	29
Oddział neurologiczny	242 609,115	1106	495 163,13	1364	275 278,63	1200
Oddział udarowy	-	-	-	-	1 250,00	7
Oddział rehabilitacyjny	6 685	45	12 855,00	47	5 690,00	41
Oddział rehabilitacji neurologicznej	-	-	-	-	152,25	6
Oddział neurologiczny dla dzieci	-	-	1 000,00	2	-	-
<b>SUMA</b>	<b>842 620,87</b>	<b>3701</b>	<b>1 833 008,32</b>	<b>4475</b>	<b>884 306,32</b>	<b>3843</b>
<b>Program leczenia spastyczności w mózgowym porażeniu dziecięcym</b>						
Poradnia neurologiczna dla dzieci	32 042,35	132	73 761,40	170	40 176,75	128
Poradnia rehabilitacyjna	23 600	89	25 099,00	82	6 300,00	48
Poradnia rehabilitacyjna dla dzieci	36 028	133	94 224,00	228	30 290,50	144
Poradnia chirurgii urazowo-ortopedycznej dla dzieci	1 100	7	3 550,00	15	3 135,00	9
Ośrodek rehabilitacji dziennej dla dzieci	9 100	23	15 000,00	29	9 200,00	24
Oddział neurologiczny dla dzieci	23 640	73	46 210,00	99	35 279,00	92
Oddział rehabilitacyjny	215	2	545,00	2	4 210,00	24
Oddział rehabilitacyjny dla dzieci	81 761,35	370	241 276,46	625	127 637,05	452

Komórka organizacyjna	2011 – I połowa		2011 – cały rok		2012 – I połowa	
	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób	Liczba wykonanych świadczeń w poszczególnych zakresach	Liczba osób
Oddział rehabilitacji neurologicznej	20 915	62	50 732,00	81	-	-
Oddział pediatryczny	3 100	6	3 901,00	14	-	-
Oddział rehabilitacji neurologicznej dla dzieci	-	-	-	-	45 514,00	81
Oddział chirurgii urazowo-ortopedycznej	27 556	33	48 833,50	42	2 684,53	34
Oddział chirurgii urazowo-ortopedycznej dla dzieci	27 912,058	188	61 027,49	275	24 794,81	168
<b>SUMA</b>	<b>286 969,76</b>	<b>1118</b>	<b>664 159,85</b>	<b>1662</b>	<b>329 221,64</b>	<b>1204</b>

[Redacted content]



## 2.5. Populacja docelowa

### Definicja

Populację docelową zdefiniowano na podstawie kryteriów włączenia do proponowanego programu lekowego (PL).

[Redacted text]

[Redacted text]

### Liczebność

Liczebność populacji docelowej wyznaczona została w następujących krokach:

- Na podstawie statystyk liczby hospitalizacji z powodu udaru mózgu oszacowano roczną liczbę udarów mózgu w latach 2013-2016; rocznie w systemie NFZ rejestrowanych jest ponad 88 tys. hospitalizacji z powodu udaru mózgu w ramach grup JGP (jednorodne grupy pacjentów):
  - A48 kompleksowe leczenie udarów mózgu > 7 dni w oddziale udarowym,
  - A49 udar mózgu – leczenie > 3 dni,
  - A50 udar mózgu – leczenie,
  - A51 udar mózgu – leczenie trombolityczne > 7 dni w oddziale udarowym;

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]



[Redacted content]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

## 2.6. Rozpowszechnienie

[Redacted content]

## 2.7. Koszty

W analizie uwzględniono wyłącznie bezpośrednie koszty medyczne obejmujące następujące kategorie kosztowe:

[Redacted content]



## 2.8. Dawkowanie i częstotliwość podania

Dawkowanie uwzględnionych w analizie leków ustalono na podstawie charakterystyk produktów leczniczych [4, 5] oraz badań klinicznych uwzględnionych w analizie efektywności klinicznej. [3] Szczegółowe informacje dotyczące dawkowania leków przedstawione zostały w analizie ekonomicznej [13]. Poniżej przedstawiono założenia przyjęte na potrzeby niniejszej analizy.

### Częstotliwość podania

### Dawkowanie

Tabela 9.

		[REDACTED]		[REDACTED]	
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

## 2.9. Przerwanie terapii

Maksymalną liczbę podań preparatu Dysport w ramach programu lekowego określono na [REDACTED]. Największa liczba podań w odnalezionych badaniach wynosiła [REDACTED] dla takiej też liczby podań dostępne są dane o odsetku pacjentów wymagających podania takiej liczby dawek, czy też przerwaniu terapii po kolejnych dawkach. W badaniu [REDACTED] nie sprecyzowano kryteriów kontynuacji terapii.

[REDACTED]

Odsetki pacjentów, u których zastosowano kolejne dawki leku, określone były wyłącznie dla populacji pacjentów, którzy zostali poddani końcowej ocenie w badaniu (wyniki dla 12 miesięcy), nie uwzględnia zatem śmiertelności pacjentów. Wpływ tego czynnika modelowany był zatem odrębnie.

[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

## 2.10. Śmiertelność

Zakładany w analizie czas od wystąpienia udaru do podjęcia leczenia spastyczności wynosi [REDACTED]. W związku z tym w celu oszacowania liczby pacjentów kwalifikujących się do rozpoczęcia terapii spastyczności (liczebności populacji docelowej) w analizie uwzględniono dane dotyczące śmiertelności w okresie [REDACTED].

Ponadto w celu uwzględnienia zmniejszającej się ze względu na występujące zgony liczby pacjentów kontynuujących terapię (przyjmujących kolejne dawki leku) w analizie uwzględniono dane dotyczące śmiertelności w okresie 1 roku po udarze. [REDACTED]

[REDACTED] W poniższej tabeli przedstawiono dane wykorzystane w analizie.

Tabela 11.

[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

## 2.11. Źródła danych – podsumowanie

W poniższej tabeli (Tabela 12) zestawiono informacje dotyczące źródeł danych, z których skorzystano w niniejszej analizie.

Tabela 12.  
Zestawienie źródeł danych wykorzystanych analizie

Kategoria	Parametr	Wartość	Źródło
Dane epidemiologiczne	[REDACTED]	[REDACTED]	Statystyki JGP [14]
	[REDACTED]	[REDACTED]	Badania epidemiologiczne (szczegóły w rozdziale 11.2)
	[REDACTED]	[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	
Rozpowszechnienie leków	[REDACTED]	[REDACTED]	Opinia eksperta
Zużycie zasobów	[REDACTED]	[REDACTED]	Badanie BoTULS [10]
	[REDACTED]	[REDACTED]	ChPL [5]
	[REDACTED]	[REDACTED]	Badanie BoTULS [10]
	[REDACTED]	[REDACTED]	
Dane kosztowe	[REDACTED]	[REDACTED]	Obwieszczenie MZ [11], Podmiot odpowiedzialny
	[REDACTED]	[REDACTED]	Obwieszczenie MZ [11]
	[REDACTED]	[REDACTED]	Zarządzenie Prezesa NFZ [12]

[REDACTED]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

### 2.13. Analiza wrażliwości

Dane uwzględnione w analizie BIA mogą podlegać zmianom w zależności od czynników i okoliczności, których nie sposób na obecnym etapie przewidzieć. Przeprowadzono jednokierunkowe analizy wrażliwości uwzględniające zmienność następujących parametrów:

[Redacted]



W jednokierunkowej analizie wrażliwości, we wszystkich wariantach analizy obliczono prognozowane wydatki płatnika w sytuacji, gdy jeden parametr podlegał zmianie, przyjmując wartość uwzględnioną w analizie wrażliwości, natomiast pozostałe zmienne przyjmowały wartości uwzględnione w analizie podstawowej. W ten sposób oszacowano, jaki wpływ na zmianę wydatków płatnika może mieć niepewność związana z przyjętymi wartościami poszczególnych zmiennych.

Szczegółowe wyniki analizy wrażliwości oraz dane dotyczące zakresu zmienności poszczególnych parametrów uwzględnionych w analizie wrażliwości przedstawiono w rozdziale 4. Ponadto, w załączonym arkuszu kalkulacyjnym istnieje możliwość wygenerowania wyników analizy przy uwzględnieniu dowolnych wartości opisanych parametrów.

### 3. WYNIKI

#### 3.1. Liczba pacjentów leczonych

Liczba pacjentów kwalifikujących się do terapii w ramach programu lekowego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania toksyny botulinowej zgodnie z przedstawionym projektem programu wyniesie [REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

#### 3.2. Wydatki NFZ w scenariuszu istniejącym

W scenariuszu istniejącym toksyna botulinowej typu A nie jest finansowana ze środków publicznych w rozważanym wskazaniu, wobec czego płatnik publiczny (NFZ) nie ponosi kosztów związanych z terapią toksyną botulinową typu A.

#### 3.3. Wydatki NFZ w scenariuszu nowym

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Tabela 15.



[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]



### 3.4. Wydatki inkrementalne NFZ

Ponieważ w scenariuszu istniejącym toksyna botulinowa typu A nie jest refundowana w ocenianym wskazaniu, wyniki inkrementalne odpowiadają wynikom wygenerowanym w scenariuszu nowym.

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

## 4. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI

### 4.1. Scenariusze analizy wrażliwości

W analizie wrażliwości przedstawiono w jakim zakresie mogą się zmieniać wydatki płatnika publicznego w zależności od przyjętych założeń. Poniżej w formie tabelarycznej przedstawiono parametry podlegające zmianie w poszczególnych wariantach analizy wrażliwości, wartości przyjęte w analizie wrażliwości oraz uzasadnienie zmienności (Tabela 19).

Tabela 19.

[REDACTED]				
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	T	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	T	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	.	T	.	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	T	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	.	T	.	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	T	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	T	[REDACTED]	[REDACTED]





[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

## 5. ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

### 5.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych



W niektórych przypadkach zaleca się podanie toksyny botulinowej typu A pod kontrolą EMG, o czym decyduje lekarz prowadzący. Podanie leku u takich pacjentów będzie generowało dodatkowe koszty związane z zakupem dedykowanych igieł.

Podjęcie decyzji o finansowaniu toksyny botulinowej typu A ze środków publicznych nie powinno spowodować istotnych konsekwencji w wydatkach publicznych w sektorach innych niż ochrona zdrowia, dlatego też nie przeprowadzano oddzielnej analizy w tym zakresie.

### 5.2. Aspekty etyczne i społeczne

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu toksyny botulinowej typu A ze środków publicznych pozwoliłoby na wprowadzenie terapii usprawniającej proces rehabilitacji wśród pacjentów po udarze mózgu, u których rozwija się spastyczność kończyny górnej. Zastosowanie terapii wspomagającej, jaką jest podanie toksyny botulinowej, może przyczynić się do szybszego powrotu do sprawności, a co za tym idzie – skrócenia czasu rehabilitacji. Nie odnaleziono jednak wiarygodnych danych pozwalających uwzględnić taki aspekt w obliczeniach, niemniej jednak ze społecznego punktu widzenia istotny jest potencjalnie krótszy okres niepełnosprawności chorych (zwolnienia lekarskie, ograniczona produktywność).

U niektórych pacjentów podanie toksyny botulinowej typu A może umożliwić przeprowadzenie rehabilitacji. W takich przypadkach niedostępność tej opcji terapeutycznej praktycznie uniemożliwia powrót do sprawności.

Ze względów etycznych i społecznych (poprawa równości dostępu do świadczeń) należy rozważyć finansowanie toksyny botulinowej typu A w populacji pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze mózgu.

Szczegółowe wyniki analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu toksyny botulinowej typu A przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 22).

**Tabela 22.**  
**Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu toksyny botulinowej typu A ze środków publicznych**

Kategoria	Opis
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle wyników analizy kosztów-efektywności</b>	
Czy koszty efektywności różnią się w poszczególnych podgrupach?	Niższe koszty terapii wśród pacjentów ze spastycznością ograniczoną do dłoni lub nadgarstka (przy założeniu jednakowej skuteczności bez względu na lokalizację spastyczności) wpływają na wyższą opłacalność stosowania leku w tej podgrupie pacjentów. Wynika to bezpośrednio z tego, że im mniejszy obszar objęty spastycznością, tym mniejsze zapotrzebowanie na lek i tym niższe koszty terapii.
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	-
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów społecznych</b>	
Zapewnienie równości dostępu pacjentów o zbliżonych potrzebach do badanej technologii	Finansowanie technologii pozwoli zapewnić równy dostęp do świadczeń. Włączenie pacjentów ze spastycznością kończyny górnej po udarze do programu pozwoli na poprawienie efektów uzyskiwanych samą rehabilitacją. Jednocześnie w przypadku ludzi relatywnie młodych pozwoli na potencjalne co najmniej normalne funkcjonowanie bez pomocy osób trzecich.
Zaspokajanie niezaspokojonych dotychczas potrzeb grup społecznie upośledzonych	Finansowanie toksyny botulinowej pozwoli na usprawnienie procesu rehabilitacji osób po udarze, a pacjentom ze spastycznością uniemożliwiającą prowadzenie rehabilitacji podarowej umożliwi odpowiednie postępowanie
Odpowiedź na potrzeby osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	Finansowanie toksyny botulinowej pozwoli na usprawnienie procesu rehabilitacji osób po udarze, a pacjentom ze spastycznością uniemożliwiającą prowadzenie rehabilitacji podarowej umożliwi odpowiednie postępowanie
Zgodność z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie technologii jest zgodne z obowiązującym prawem.
Wpływ na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Zbliżona do alternatywnych technologii.
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów etycznych</b>	
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Finansowanie toksyny botulinowej może wpłynąć na usprawnienie procesu rehabilitacji osób po udarze
Ryzyko niezaakceptowania terapii przez poszczególnych chorych	Ryzyko niezaakceptowania terapii przez pacjentów jest niewielkie.
Możliwość stygmatyzacji chorych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod leczenia
Możliwość wywoływania lęku	Zbliżona do obecnie stosowanych metod leczenia
Możliwość powodowania dylematów moralnych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod leczenia
Możliwość stwarzania problemów dotyczących płci lub rodzinnych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod leczenia
Konieczność szczególnego informowania lub uzyskiwania zgody pacjenta na zabieg	Podanie toksyny botulinowej wiąże się z możliwością wystąpienia zdarzeń niepożądanych, w związku z czym wymagane jest udostępnienie pacjentowi szczegółowych informacji o potencjalnych konsekwencjach.
Potrzeba zapewnienia pacjentowi niekrępujących warunków lub poufności przy zabiegu	Nie dotyczy
Potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze terapii	Zasadność rozpoczęcia terapii toksyną botulinową może być warunkowana chęcią pacjenta do uczestnictwa w zajęciach rehabilitacyjnych
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta przy wyborze terapii	Zbliżona do obecnie stosowanych metod leczenia

## 6. PODSUMOWANIE I WNIOSKI

Celem analizy wpływu na budżet była prognoza wydatków płatnika publicznego (Narodowego Funduszu Zdrowia) związanych z finansowaniem toksyny botulinowej typu A (preparat Dysport®) w terapii spastyczności kończyny górnej u dorosłych pacjentów po udarze mózgu w warunkach polskich.

Zakładany sposób finansowania toksyny botulinowej typu A to program lekowy, którego projekt załączono do wniosku.

[Redacted content]

## 7. OGRANICZENIA

- Liczbę udarów oszacowano na podstawie statystyk JGP – uwzględniono zarówno pierwsze, jak i kolejne udary w życiu pacjenta (potencjalne kilkukrotne włączenie tego samego pacjenta do PL, podczas gdy zgodnie z treścią projektu nie jest to dozwolone).
- Dane ze statystyk JGP mogą być zawyżone ze względu na błędy w raportowaniu oraz nieprawidłowe rozliczanie hospitalizacji.

[Redacted text block containing multiple paragraphs of blacked-out content]

[Redacted text block]

## 8. DYSKUSJA

Celem analizy była prognoza wydatków płatnika publicznego związanych z finansowaniem toksyny botulinowej typu A (preparat Dysport®) w terapii spastyczności kończyny górnej u dorosłych pacjentów po udarze mózgu w przypadku refundacji preparatu Dysport w ramach programu lekowego.

Podstawową determinantą wielkości prognozowanych wydatków jest liczba pacjentów kwalifikujących się do programu lekowego. Liczebność populacji docelowej oszacowano zgodnie z kryteriami włączenia i wyłączenia z programu, na podstawie opublikowanych danych statystycznych, wyników badań klinicznych oraz na podstawie opinii ekspertów.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted] Wykorzystane dane są najlepszymi dostępnymi dowodami naukowymi pozwalającymi

przeprowadzić stosowne oszacowania, mimo ograniczeń związanych z wnioskowaniem na ich podstawie. [REDACTED]

Stosowanie toksyny botulinowej może umożliwić rehabilitację u osób, u których bez tego, ze względu na nasiloną spastyczność i brak możliwości wykonywania ćwiczeń rehabilitacyjnych, nie byłoby możliwości jej prowadzenia. To z kolei mogłoby doprowadzić do zwiększenia liczby pacjentów poddawanych rehabilitacji (pomijając problem kolejek do świadczeń). Z drugiej strony stosowanie toksyny ułatwiającej proces rehabilitacji może prowadzić do zwiększenia skuteczności rehabilitacji i skrócenia czasu potrzebnego do osiągnięcia zamierzonego celu terapeutycznego, przez co dostępność do świadczeń rehabilitacyjnych mogłaby ulec poprawie (w ramach jednego budżetu możliwe zapewnienie świadczeń większej liczbie chorych). [REDACTED]



## 9. BIBLIOGRAFIA

[Redacted Bibliography Content]

2

[Redacted text block]

## 10. SPIS TABEL

[Redacted Table of Contents]

## 11. ANEKS

### 11.1. Strategie wyszukiwania danych

W celu odnalezienia danych dotyczących epidemiologii udaru mózgu oraz spastyczności kończyny górnej po udarze mózgu w Polsce, przeszukano bazę Głównej Biblioteki Lekarskiej (GBL [15]). Szczegółową strategię wyszukiwania wraz z liczbą uzyskanych wyników przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 23). W wyniku selekcji artykułów na podstawie lektury tytułów i abstraktów wyodrębniono 8 publikacji przeznaczonych do lektury w pełnych wersjach tekstów.

**Tabela 23.**  
Strategia wyszukiwania danych populacyjnych zastosowana w GBL

L.p.	Zapytanie	Wyniki
1	udar mózgu - epidemiologia	66
2	spastyczność mięśniowa - epidemiologia	1
Data przeszukania: 6 grudnia 2012		

W celu odnalezienia danych dotyczących epidemiologii spastyczności kończyny górnej po udarze przeszukano także bazę MEDLINE (przez PubMed [16]). Zastosowaną strategię wyszukiwania przedstawiono w znajdującej się poniżej tabeli (Tabela 24). W wyniku lektury abstraktów uzyskanych wyników wyodrębniono 21 publikacje, które poddano analizie pełnotekstowej.

**Tabela 24.**  
Strategia wyszukiwania danych populacyjnych zastosowana w bazie MEDLINE

Lp.	Zapytanie	Wyniki
#1	(prevalence OR morbidity OR abundance OR incidence OR cohort OR cross-sectional OR registry OR epidemiology OR epidemiol* OR population)	3 023 128
#2	stroke OR post-stroke OR poststroke	187 699
#3	spasticity	10 290
#4	#1 AND #2 AND #3	159
Data przeszukania: 06 grudnia 2012		

### 11.2. Parametry populacyjne

W celu wyznaczenia liczebności populacji docelowej uwzględniono następujące parametry:

- roczna liczba udarów mózgu,



W tabeli poniżej przedstawiono wyniki dotyczące zapadalności raportowane w zidentyfikowanych badaniach.

**Tabela 25.**  
**Zapadalność na udar mózgu w Polsce – wyniki badań epidemiologicznych**

Badanie/rejestr	Okres badania	Liczebność populacji ogólnej	Współczynnik zapadalności (na 100 000 osób)					
			Wyniki standaryzowane			Wyniki surowe		
			M	K	O	M	K	O
<b>Uwzględnione wszystkie udary (pierwszy i kolejne)</b>								
<b>Pol-Monica (Sarti 2003 [17])<sup>a</sup></b>	1984-1987	201 541 <sup>b</sup>	171	90	bd	bd	bd	bd
	1991-1994		171	93	bd	bd	bd	bd
<b>Krakowski Rejestr Udarowy (Słowik 2007 [20])</b>	1999/2000	589 820	218	152	180	192	181	186
<b>Rejestr chorych leczonych w Zabrze (Wawrzyńczyk 2011 [19])</b>	2005-2006	191 247	211	130	167	208	175	191
<b>Uwzględniony wyłącznie pierwszy udar</b>								
<b>Warszawski Rejestr Udarów (Sienkiewicz-Jarosz 2011 [18])</b>	1991/1992	182 649	134	91	111	130	124	126
<b>European Register of Stroke Project (EROS) (Sienkiewicz-Jarosz 2011 [18])</b>	2005	120 186	140	120	129	109	103	106
<b>Rejestr chorych leczonych w Zabrze (Wawrzyńczyk 2011 [19])</b>	2005-2006	191 247	161	104	131	160	140	150

M – mężczyźni; K – kobiety; O – ogółem; a) populacja ograniczona do pacjentów w wieku 35-64 lat; b) średnia liczebność populacji ogólnej przez cały okres badania (1984-1994)

W publikacji Sarti 2003 przedstawiono wyniki dotyczące polskiego ramienia badania WHO Monica (badanie przeprowadzone łącznie na 14 populacjach w 9 państwach; uwzględnione udary występujące w okresie 1982-1995 r.), w którym oceniano zapadalność na udar mózgu na podstawie danych dotyczących pacjentów w wieku 25-64 lat hospitalizowanych z powodu udaru. Ze względu na znikomą liczbę przypadków u osób poniżej 35 r.ż. przedstawione wyniki uwzględniały wyłącznie pacjentów w wieku 35-64 lat. W okresie badania odnotowano łącznie 2 892 udary.

Przedstawione w publikacji Słowik 2007 dane uzyskano z Krakowskiego Rejestru Udarów Mózgu, w którym zebrano informacje o mieszkańcach Krakowa z udarem w okresie od lipca 1999 r. do czerwca 2000 r. W tym okresie w badanej populacji zarejestrowano 1096 udarów mózgu, w tym 875 występujących po raz pierwszy.

W pracy Wawrzyńczyk 2011 opisano rejestr chorych leczonych z powodu udaru mózgu w Zabrze w latach 2005-2006. Informacje uzyskano na podstawie danych NFZ. Rejestr zawierał dane na temat 731 pacjentów, w tym 572 z pierwszym udarem.

W publikacji Sienkiewicz-Jarosz 2011 porównano wskaźniki zapadalności i śmiertelności z powodu pierwszego w życiu udaru mózgu w Warszawie w latach 1991/1992 i 2005. Dane uzyskano

z Warszawskiego Rejestru Udarów (1991/1992) i badania populacyjnego będącego częścią projektu *European Registers of Stroke* (EROS; 2005). W badaniu EROS zarejestrowano 127 udarów (w przypadku Warszawskiego Rejestru Udarów odpowiednie dane nie zostały przedstawione).

Duże zróżnicowanie wyników badań przedstawionych w powyższej tabeli (zapadalność od 109 do 218 na 100 000 osób wśród mężczyzn, od 90 do 181 na 100 000 osób wśród kobiet, od 106 do 191 na 100 000 osób ogółem) związane jest ze znacznymi różnicami pomiędzy badaniami w zakresie aspektów omówionych wcześniej (metodyka zbierania i prezentowania danych).

Przedstawione dane nie umożliwiają precyzyjnego oszacowania rocznej liczby udarów w Polsce. Niemniej jednak na podstawie wyników z Krakowskiego Rejestru Udarowego oraz rejestru chorych leczonych w Zabrze można przypuszczać, że roczna liczba udarów w Polsce zawiera się w przedziale 64-74 tys. (64-69 tys. w przypadku wykorzystania w obliczeniach wyników standaryzowanych, 71-74 tys. dla danych surowych). Przedstawione wyniki zostały uzyskane przy założeniu liczebności populacji Polski na poziomie 38,5 mln (dane GUS z roku 2011 [redacted] bez uwzględnienia zmian w strukturze wiekowej populacji oraz zmian współczynników zapadalności w poszczególnych grupach wiekowych w czasie. Uzyskane wyniki są zbliżone do wartości przedstawianych w publikacjach poruszających problem epidemiologii udaru mózgu w Polsce (60-70 tys. udarów rocznie) [redacted]

Innym potencjalnym źródłem informacji o liczbie udarów występujących w Polsce w ciągu roku są statystyki JGP prezentowane na stronach internetowych NFZ [14]. W poniższej tabeli przedstawiono dane dotyczące liczby hospitalizacji dla grup A48-A51 (grupy z katalogu JGP związane z udarem) w latach 2009-2011. Od łącznej liczby hospitalizacji odjęta została liczba hospitalizacji planowych, które dotyczą prawdopodobnie przypadków, gdy leczenie pacjenta po udarze ma miejsce w innym szpitalu niż szpital, w którym zdiagnozowano udar. Przedstawione dane nie umożliwiają precyzyjnego oszacowania liczby występujących w ciągu roku udarów, pozwalają natomiast określić maksymalną ich liczbę (zakładając, że wszyscy pacjenci, którzy doznają udaru są hospitalizowani; z pominięciem pacjentów, u których w wyniku udaru występuje zgon zanim podjęte zostanie leczenie szpitalne – pacjenci tacy nie stanowią populacji docelowej analizy). Jeżeli w przypadku części udarów liczba hospitalizacji przypadających na leczenie pojedynczego epizodu jest większa niż jeden, faktyczna roczna liczba udarów jest mniejsza niż wartości przedstawione w poniższej tabeli.

**Tabela 26.**  
**Liczba hospitalizacji związanych z udarem mózgu (grupy A48-A51) – statystyki JGP**

Kategoria	2009	2010	2011
Łączna liczba hospitalizacji	94 975	92 004	93 232
Liczba hospitalizacji planowych	4 774	3 643	6 392
<b>Liczba udarów<sup>a</sup></b>	<b>90 201</b>	<b>88 361</b>	<b>86 840</b>

a) przy założeniu, że po wykluczeniu hospitalizacji planowych każdemu przypadkowi udaru odpowiada jedna hospitalizacja

W analizie założono, że liczba udarów odpowiada wartościom wyznaczonym na podstawie statystyk JGP, ponieważ są to dane bardziej aktualne niż dane z badań epidemiologicznych i obejmują

wszystkich pacjentów leczonych w Polsce z powodu udaru (w ramach hospitalizacji). [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

#### 11.2.1.2. Śmiertelność poudarowa

Dane dotyczące śmiertelności po udarze przedstawiono w 4 publikacjach opisujących wyniki 5 badań. Trzy z tych publikacji (Słowik 2007, Wawrzyńczyk 2011, Sienkiewicz-Jarosz 2011) zostały opisane w poprzednim rozdziale dotyczącym zapadalności. Dodatkowo uwzględniono wyniki polskiego rejestru udarów opisane w publikacji Niewada 2006 oraz dane z lat 2007–2008 dotyczące pacjentów objętych tym samym rejestrem (Rejestr Narodowego Programu Profilaktyki i Leczenia Udaru Mózgu, dane dostarczone przez autorów rejestru).

Praca Niewada 2006 prezentuje wyniki dotyczące leczenia ostrego udaru mózgu w ośrodkach biorących udział w Rejestrze Narodowego Programu Profilaktyki i Leczenia Udaru Mózgu w latach 2001–2002. W badaniu uwzględniono 26 ośrodków, w których leczono łącznie 8 736 pacjentów. Jak wspomniano wcześniej, w analizie uwzględniono również dane ze wspomnianego rejestru z lat 2007–2008 dostarczone bezpośrednio przez autorów rejestru. Dane dotyczące śmiertelności przedstawione zostały odrębnie dla pacjentów doświadczających udaru niedokrwiennego i krwotocznego. W celu wyznaczenia śmiertelności dla wszystkich pacjentów po udarze bez względu na jego typ, wykorzystano dane dotyczące częstości występowania udaru niedokrwiennego i krwotocznego ustalone na podstawie danych z publikacji Słowik 2007: 85% – udary niedokrwienne, 15% - udary krwotoczne.

Zestawienie wyników z opisanych powyżej publikacji przedstawiono w tabeli poniżej (Tabela 27).



**Tabela 27.**  
**Śmiertelność związana z udarem mózgu w Polsce – wyniki badań**

Badanie/rejestr	Okres badania	Liczba pacjentów po udarze	Śmiertelność		
			Miesięczna	3-miesięczna	Roczna
<b>Uwzględnione wszystkie udary (pierwszy i kolejne)</b>					
Krakowski Rejestr Udarowy (Słowik 2007 [20])	1999/2000	1 096	17,8%	28,1%	39,7%
Rejestr chorych leczonych w Zabrze (Wawrzyńczyk 2011 [19])	2005-2006	731	18,3%	bd	bd
Rejestr Narodowego Programu Profilaktyki i Leczenia Udaru Mózgu (Niewada 2006 [21] <sup>b</sup> )	2001-2002	8 736	15,2% <sup>a</sup>	bd	bd
	2007-2008	bd	18,6%	25,2%	32,9%
<b>Uwzględniony wyłącznie pierwszy udar</b>					
Warszawski Rejestr Udarów (Sienkiewicz-Jarosz 2011 [18])	1991/1992	462	43,0%	bd	59,7%
European Register of Stroke Project (EROS) (Sienkiewicz-Jarosz 2011 [18])	2005	127	14,9%	bd	33,1%
Rejestr chorych leczonych w Zabrze (Wawrzyńczyk 2011 [19])	2005-2006	572	16,6%	bd	bd

a) uwzględnione wyłącznie udary niedokrwienne; b) dane z lat 2007-2008 uzyskane bezpośrednio od autorów rejestru

Podobnie jak w przypadku zapadalności, również dane dotyczące śmiertelności różnią się między sobą ze względu na różnice w metodyce przeprowadzania poszczególnych badań oraz okres w jakim były one przeprowadzane.

Wartości odpowiednich parametrów ustalone zostały na podstawie danych z Rejestru Narodowego Programu Profilaktyki i Leczenia Udaru Mózgu z lat 2007-2008, gdyż są to dane najbardziej aktualne. Uwzględnione w analizie dane dotyczące śmiertelności wśród pacjentów po udarze przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 28).

**Tabela 28.**  
**Śmiertelność po udarze – dane uwzględnione w analizie**

Parametr	Wartość
Śmiertelność 3-miesięczna	25,2%
Śmiertelność roczna	32,9%

### 11.2.2. Spastyczność poudarowa kończyny górnej

W wyniku przeprowadzonego przeszukania zidentyfikowano 6 badań (Lundstrom 2008 [redacted], Lundstrom 2010 [redacted], Urban 2010 [redacted], Watkins 2002 [redacted], Sommerfeld 2004 [redacted], Wissel 2010 [redacted]) w których oceniana była częstość występowania spastyczności. W uwzględnionych badaniach raportowano dane dotyczące częstości występowania spastyczności poudarowej ogółem, spastyczności kończyny górnej, a także spastyczności w zależności od stopnia nasilenia w skali MAS.

Celem badania Lundstrom 2008 było oszacowanie częstości występowania spastyczności 12 miesięcy po udarze. Do badania zakwalifikowano grupę osób ze szwedzkiego rejestru udarów mózgu, hospitalizowanych w okresie od stycznia 2003 r. do kwietnia 2004 r. Zakwalifikowano pacjentów w wieku powyżej 18. roku życia (średni wiek – 73 lata), którzy doświadczyli pierwszego w życiu udaru i przeżyli rok po tym zdarzeniu.

W pracy Lundstrom 2010 badano występowanie oraz czynniki ryzyka związane ze spastycznością w okresie do 6 miesięcy po pierwszym w życiu pacjenta udarze. Badaniu poddano szwedzkich pacjentów (średni wiek – 74 lata), hospitalizowanych pomiędzy lutym 2005 r. a marcem 2008 r. Oceny występowania spastyczności dokonano w trzech punktach czasowych: 2–10 dni oraz 1 i 6 miesięcy po udarze mózgu.

Praca Urban 2010 miała na celu określenie częstości występowania spastyczności po niedokrwiennym udarze mózgu, związku pomiędzy spastycznością a początkowymi objawami klinicznymi po ostrym udarze oraz wpływu spastyczności na codzienne czynności i jakość życia związaną ze zdrowiem. Ocenę spastyczności dokonano po 6 miesiącach od wystąpienia pierwszego w życiu pacjenta udaru. Do badania zakwalifikowano pacjentów przyjętych do szpitala w Mainz (Niemcy). Średnia wieku badanych wynosiła 68 lat.

Celem badania Watkins 2002 było oszacowanie częstości występowania spastyczności 12 miesięcy po udarze mózgu oraz zbadanie jej związku ze stanem funkcjonalnym pacjentów. Oceniano brytyjskich pacjentów poddanych hospitalizacji, którzy przeżyli udar mózgu (pierwszy lub kolejny). Badano pacjentów przyjętych do szpitala między styczniem a czerwcem 1996 r. Średnia wieku wynosiła 70 lat.

W badaniu Sommerfeld 2004 ocenie poddano częstość występowania spastyczności oraz jej związek z ograniczeniami w funkcjonowaniu pacjentów po udarze. Badaniem objęci zostali pacjenci ze szpitala w Sztokholmie, hospitalizowani w 2001 r. (średni wiek – 78 lat). Dokonano oceny wstępnej (średnio 5,4 dni po udarze) oraz 3 miesiące po udarze.

Badanie Wissel 2010 było prospektywnym badaniem obserwacyjnym dotyczącym wczesnego rozwoju spastyczności poudarowej. Obserwacji poddano pacjentów w 6. dniu oraz 6. i 16. tygodniu po udarze mózgu z odnotowanym napięciem mięśni, bólem i niedowładem. Do badania włączono pacjentów z

przyjętych do szpitala w okresie od 1 kwietnia do 30 czerwca 2006 r. Średnia wieku chorych wynosiła 69 lat.

Z odnalezionych badań wynika, że spastyczność poudarowa występuje u 18%–43% chorych. Odsetek osób ze spastycznością kończyny górnej wśród chorych po udarze wynosi natomiast od 17% do 36%. (Tabela 29)

**Tabela 29.**  
Częstość występowania spastyczności i spastyczności kończyny górnej

Badanie	Państwo	Liczba osób po udarze	Czas od udaru [miesiące]	Spastyczność ogółem <sup>a</sup>	Spastyczność kończyny górnej <sup>a</sup>
Lundstrom 2008 [26]	Szwecja	140	12	17,9%	17,1%
Lundstrom 2010 [27]	Szwecja	47	6	23,0%	21,0%
Urban 2010 [28]	Niemcy	211	6	42,7%	35,5%
Watkins 2002 [29]	Wielka Brytania	106	12	bd	27,4%
Sommerfeld 2004 [30]	Szwecja	95	3	18,9%	17,9%
Wissel 2010 [31]	Niemcy	83	3-6	21,7%	bd
<b>Średnia</b>				<b>28,1%</b>	<b>25,9%</b>

a) wśród osób po udarze

[Redacted text block]

**Tabela 30.**

[Redacted table content]



## 12. ZGODNOŚĆ Z MINIMALNYMI WYMAGANIAMI

Tabela 31.

Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań dla analizy wpływu na budżet określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku

Wymaganie	Rozdział / Strona / Tabela
<b>§ 2.</b>	
Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.	Ceny, poziom i sposób finansowania zgodne z obwieszczeniem Ministra Zdrowia obowiązującym w marcu 2013 roku (rozdział 2.7)
<b>§ 6.1 Analiza wpływu na budżet zawiera:</b>	
1. oszacowanie rocznej liczebności populacji:	-
a. obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,	Rozdział 2.3
b. docelowej, wskazanej we wniosku,	Rozdział 2.5
c. w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	Rozdział 2.4
2. oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdział 3.3.1
3. oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...) ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;	Rozdział 3.1
4. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <b>nie wyda</b> decyzji o objęciu refundacją (...)	Rozdział 3.1
5. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <b>wyda</b> decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdział 3.3
6. oszacowanie dodatkowych wydatków (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami (...)	Rozdział 3.4
7. minimalny i maksymalny wariant oszacowania (...)	Rozdział 4
8. zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...)	Rozdziały 2, 11.2
9. wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...), w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu,	Rozdziały 1, 2, 11
10. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania (...) oraz prognozy (...)	Załącznik do analizy

Wymaganie	Rozdział / Strona / Tabela	
<b>§ 6.2</b>		
Oszacowania (...) oraz prognozy (...) dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet.	Rozdziały 2.2, 3	
<b>§ 6.3</b>		
Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonuje się w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. (...). Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane.	Analiza została przeprowadzona na podstawie oszacowań liczby pacjentów (rozdziały 2.5, 3), nie zaprezentowano dodatkowych wariantów w tym zakresie.	
<b>§ 6.4</b>		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (...), oszacowania (...) oraz prognozy (...) powinny być przedstawione w następujących wariantach:	1. z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	Rozdziały 3.3.1, 3.4.1
	2. bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	Rozdziały 3.3.2, 3.4.2
<b>§ 6.5</b>		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy.		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	Rozdział 1.7	
<b>§ 8. Analizy, o których mowa w §1, muszą zawierać:</b>		
1. dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji;	Rozdział 9, także str. 2	
2. wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii.		