



IGNORANTIA NOCET

Alfamino<sup>®</sup> HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.0

Wykonawca:  
MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Modra 90/111  
02 - 661 Warszawa  
Tel. biuro: +48 533 399 146  
E-mail: biuro@mahta.pl

Przygotowano dla:  
Nestlé Polska S.A.

Warszawa, 31.03.2021 r.

Osoby do kontaktu:

**Cezary Pruszko**

tel.: +48 602 10 44 55  
cezary.pruszko@mahta.pl

**Michał Jachimowicz**

tel.: +48 608 555 595  
michal.jachimowicz@mahta.pl

**MAHTA Sp. z o.o.**

Warszawa 02-661  
ul. Modra 90/111

zarejestrowana w Sądzie  
Rejonowym dla m.st. Warszawy,  
XIII Wydział Gospodarczy  
Krajowego Rejestru Sądowego

KRS: 0000331173  
NIP: 521-352-90-98  
REGON: 141874221

Kapitał zakładowy:  
5 000,00 PLN  
opłacony w pełnej wysokości

nr rachunku bankowego:  
mBank  
35 1140 2017 0000 4702 1008 6223

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne</li> <li>⊗ Ocena kosztów;</li> <li>⊗ Wnioski końcowe</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Kontrola jakości</li> </ul>

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez Cezarego Prusko i Michała Jachimowicza.

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Nestlé Polska S.A., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

---

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>5</b>
<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....</b>	<b>12</b>
<b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>	<b>12</b>
2.1. Metodyka analizy .....	12
2.2. Horyzont czasowy .....	13
2.3. Perspektywa .....	14
2.4. Scenariusze porównywane .....	14
2.5. Populacja .....	16
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.....	16
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....	27
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....	27
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....	28
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją.....	30
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....	31

---

---

2.6. Analiza kosztów .....	31
2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej.....	33
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	37
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	40
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe .....	40
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....	40
<b>3. Analiza wrażliwości .....</b>	<b>46</b>
<b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>	<b>50</b>
<b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>50</b>
<b>6. Założenia i ograniczenia .....</b>	<b>52</b>
<b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>	<b>53</b>
<b>8. Załączniki .....</b>	<b>57</b>
8.1. Dane refundacyjne NFZ .....	57
8.2. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej...59	
8.3. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	60
8.4. Liczba opakowań technologii wnioskowanej.....	62
8.5. Wyniki badania ankietowego .....	62
<b>9. Spis tabel .....</b>	<b>64</b>
<b>10. Spis rysunków .....</b>	<b>67</b>
<b>11. Bibliografia.....</b>	<b>68</b>

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AAF	ang. <i>amino acid-based formula</i> – preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów
AE	ang. <i>adverse events</i> – zdarzenia niepożądane
ALF	Alfamino®
ALF HMO	Alfamino® HMO
AKL	analiza kliniczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	analiza weryfikacyjna AOTMiT
BMK	białko mleka krowiego
b.d.	brak danych
DDD	ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku
DHA	kwask dokosaheksaenowy
EAN	ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy
EHF	ang. <i>extensively hydrolysed formula</i> – preparat mlekozastępczy o wysokim stopniu hydrolizy
HTA	ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych
HMO	ang. <i>human milk oligosaccharides</i> – oligosacharydy mleka kobiecego
IS	istotność statystyczna
m.c.	masa ciała
MZ	Minister Zdrowia
n	liczba chorych w grupie, u których wystąpiło zdarzenie
N	liczba chorych w grupie
n/d	nie dotyczy
NEO	Neocate®
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NUT	Nutramigen®
PDD	ang. <i>prescribed daily dose</i> – najczęściej stosowana dzienna dawka
PLN	polski złoty
RSA	ang. <i>risk sharing agreement</i> – umowa podziału ryzyka
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka
SD	ang. <i>standard deviation</i> – odchylenie standardowe
WHO	ang. <i>World Health Organization</i> – Światowa Organizacja Zdrowia

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (ŚSSPŻ) Alfamino® HMO (mieszanka elementarna) stosowanego w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

### METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem i *Analizą kliniczną* stanowią pacjenci w wieku rozwojowym wymagający postępowania dietetycznego w przypadku ciężkiej postaci alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym profilem choroby, związanym z objawami ciężkiej alergii na białko mleka krowiego. Właściwe leczenie chorych niemowląt i dzieci z tak nasilonymi objawami leży w interesie społecznym i powinno stanowić priorytet z punktu widzenia Ministra Zdrowia. Stosowanie preparatu Alfamino® HMO ma na celu ograniczenie negatywnych aspektów choroby, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych historycznych dotyczących refundacji środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnych na stronie Narodowego Funduszu Zdrowia, danych pochodzących z: badań epidemiologicznych i obserwacyjnych, danych z Głównego Urzędu Statystycznego oraz badania ankietowego.

---



Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

## WYNIKI

### Oszacowanie populacji

Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej wynosi w wariacie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym) [REDACTED]

[REDACTED]

### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



[Redacted text block]

**Wydatki inkrementalne w perspektywie wspólnej**

[Redacted text block]

[REDACTED]

## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu produktu Alfamino® HMO do *Wykazu leków refundowanych*.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki postępowania dietetycznego u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować postępowanie dietetyczne jedynie przy pomocy produktów Neocate (Neocate LCP®, Neocate Junior®) oraz Nutramigen PURAMINO® i Nutramigen PURAMINO JUNIOR®, teraz będą mogli skorzystać również z innowacyjnej terapii produktem Alfamino® HMO. Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w pierwszym roku refundacji z terapii ALF HMO skorzysta prawdopodobnie [REDACTED], w drugim roku refundacji [REDACTED]

[REDACTED]

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych technologii wnioskowanej

[REDACTED] Przy

---

uwzględnieniu perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjentów, wnioski z analizy nie ulegają zmianie.

[Redacted text block]

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji produktu Alfamino® HMO należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla grupy chorych niemowląt i dzieci, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Finansowanie produktu Alfamino® HMO u chorych we wnioskowanym wskazaniu przyczyni się do poprawy zależnej od zdrowia jakości życia niemowląt i dzieci z ciężką alergią na białka pokarmowe, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie priorytetów zdrowotnych*).

---

---

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (ŚSSPŻ) Alfamino® HMO (mieszanka elementarna) stosowanego w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych produktu Alfamino® HMO w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2016, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o *Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań, Wytyczne AOTMiT* oraz *Ustawę o refundacji*.
  2. Zdefiniowano populację zgodną z kryteriami kwalifikacji dla technologii wnioskowanej na podstawie odnalezionych źródeł danych: Danych refundacyjnych NFZ, badania ankietowego, danych demograficznych GUS, badań epidemiologicznych i raportów.
  3. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego, poczynszyszy od września 2021 roku.
-

4. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
5. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (produktów Neocate (Neocate LCP®, Neocate Junior®) oraz Nutramigen PURAMINO® i Nutramigen PURAMINO JUNIOR®).
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
8. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
9. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
10. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

## 2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań oraz Wytycznymi AOTMiT* horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia

się stanu równowagi na rynku (tj. osiągnięcia docelowej stabilnej wielkości sprzedaży bądź liczby leczonych pacjentów) oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od września 2021 do sierpnia 2023. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest wniosek o wydanie pierwszej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej prezentacji.

Dodatkowo, zgodnie z *Ustawą o refundacji*, pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata, co potwierdza zasadność przyjętego horyzontu czasowego analizy.

### 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:

- ⊗ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny<sup>1</sup>)
- ⊗ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

### 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* nie jest refundowana w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów


---

<sup>1</sup> Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. W scenariuszu tym produkt Alfamino® HMO dostępny będzie jako środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego w aptece na receptę i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.2.).

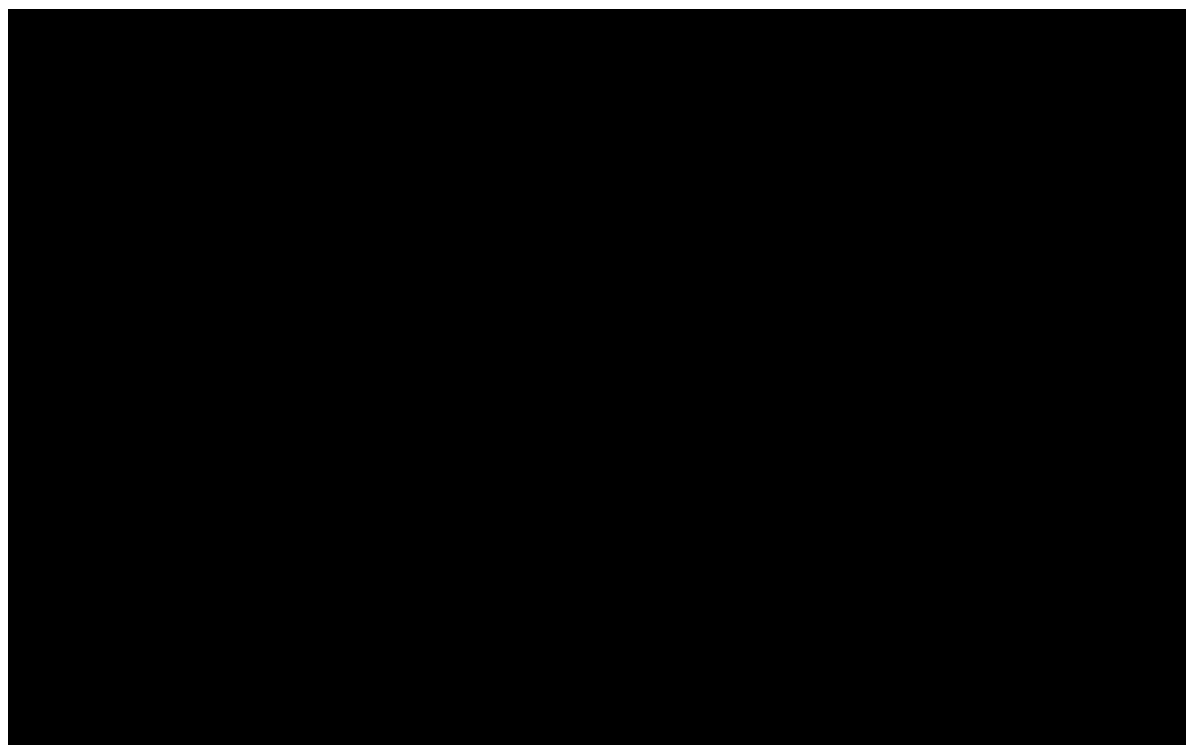
Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.



Analizowane scenariusze (istniejący, nowy),  oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

### **Rysunek 1.**

#### **Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet**



---

## 2.5. Populacja

### 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o etykietę produktu Alfamino® HMO. Zgodnie z etykietą produkt Alfamino® HMO wskazany jest w postępowaniu dietetycznym u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego lub złożonej nietolerancji białek pokarmowych. Zgodnie z *Analizą problemu decyzyjnego* etykieta produktu prezentuje wskazania w sposób ogólny i w opisie precyzyjnym dotyczy populacji zgodnej z przedmiotowym postępowaniem refundacyjnym, a więc obejmuje pacjentów w wieku rozwojowym wymagających postępowania dietetycznego w przypadku ciężkiej postaci alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. W związku z powyższym przyjęto, iż liczebność populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana pokrywa się z wnioskowanym wskazaniem.

Na podstawie wyników przeprowadzonego w ośrodku białostockim badania w celu określenia częstości występowania nadwrażliwości pokarmowej u niemowląt karmionych sztucznie lub w sposób mieszany, opisanych w abstrakcie publikacji *Kaczmarek 2003* określono, iż zdecydowanie najczęstszym rodzajem alergii pokarmowej wśród niemowląt jest alergia na mleko. Alergia ta wystąpiła u 92,6% wszystkich chorych z alergią pokarmową. Wystąpienie alergii na białko mleka krowiego związane jest jednocześnie z pojawieniem się u chorych także innych dolegliwości takich jak: atopowe zapalenie skóry, wyprysk, wysypka, pokrzywka, biegunki, kolka, nieżyt nosa lub astma. Co więcej, nietolerancja laktozy czy sacharozy oraz nadwrażliwość na soję również mogą współistnieć z alergią na białko mleka krowiego.

Odsetek chorych z alergią pokarmową wśród niemowląt oraz dzieci między 1. a 3. rokiem życia określono na podstawie wyników badania przeprowadzonego w Łodzi w ramach projektu *EuroPrevall*. Zgodnie z publikacją *Bąk-Romaniszyn 2013* odsetki te wyniosły odpowiednio 4,5% oraz 2,8%. Częstość występowania alergii pokarmowej między 3. a 5. rokiem życia

---



przyjęto taką jak u dzieci między 1. a 3. rokiem życia<sup>2</sup>. Oszacowano również wariant, w którym przyjęto częstość występowania alergii pokarmowej wśród dzieci ogółem, który zgodnie ze Światową Organizacją Zdrowia wynosi 4-6%, na podstawie danych zamieszczonych w publikacji *Bąk-Romaniszyn 2013*. Obserwacje kliniczne, potwierdzone badaniami immunologiczno-klinicznymi, wskazują, iż znacząca część chorych dzieci z alergią na spożyty pokarm z upływem czasu zaczyna go tolerować. Zjawisko to określa się mianem „wyrastania” z alergii pokarmowej i związane jest z utratą nadreaktywności organizmu na większość uczulających dotychczas alergenów (białko mleka krowiego, jaja kurzego, zbóż, soi lub innych). U około 85% chorujących proces ten dokonuje się w pierwszych latach życia (3.– 5. r.ż.) [Kaczmarek 2009]. Na podstawie *Kaczmarek 2012* określono, iż u 1-10% chorych z alergią pokarmową stosowanie hydrolizatów białek mleka krowiego nie przynosi efektów. W analizie przyjęto średnią granicznych wartości odsetka chorych. Liczebność poszczególnych grup wiekowych zaczerpnięto z *danych demograficznych GUS*.

Przedstawione powyżej dane umożliwiły oszacowanie liczby niemowląt oraz dzieci między 1. a 5. rokiem życia z alergią pokarmową, u których stosowanie hydrolizatów białek mleka krowiego nie przynosi efektów.

Dokładne wartości poszczególnych parametrów oraz źródła ich pochodzenia przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 1.**  
**Parametry wykorzystane do oszacowania populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana**

Parametr	Odsetek	Źródło
Odsetek chorych, u których dochodzi do nabycia tolerancji pokarmowej	85,00%	<i>Kaczmarek 2009</i>
Częstość występowania alergii pokarmowej u niemowląt	4,50%	<i>Bąk-Romaniszyn 2013</i>
Częstość występowania alergii pokarmowej między 1. a 3. rokiem życia*	2,80%	<i>Bąk-Romaniszyn 2013</i>

<sup>2</sup> Na podstawie danych przedstawionych w *Analizie ekonomicznej* nabywanie tolerancji u chorych z ciężką alergią na BMK nie następuje tak szybko jak u chorych z ogółem alergią na BMK.

Parametr	Odsetek	Źródło
Częstość występowania alergii pokarmowej u dzieci (dane WHO)	5,00%	<i>Bąk-Romaniszyn 2013</i>
Odsetek chorych z alergią pokarmową, u których stosowanie hydrolizatów nie przynosi efektów klinicznych	5,50%	<i>Kaczmarek 2012</i>

\*przyjęto ten odsetek również dla dzieci w przedziale wieku 3-5 r. ż.

W tabelach poniżej przedstawiono zestawienie oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej. Pierwsze zestawienie przedstawia liczbę chorych oszacowanych przy uwzględnieniu częstości występowania alergii pokarmowej zróżnicowanej dla niemowląt i dzieci, natomiast drugie zestawienie prezentuje oszacowanie liczby chorych przy przyjęciu częstości występowania alergii pokarmowej dla dzieci ogółem (dane WHO publikacja *Bąk-Romaniszyn 2013*).

**Tabela 2.**  
**Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana przy uwzględnieniu zróżnicowanej częstości alergii pokarmowej**

Parametr	Niemowlęta	Dzieci między 1 a 2 rokiem życia	Dzieci między 2 a 3 rokiem życia	Dzieci między 3 a 4 rokiem życia	Dzieci między 4 a 5 rokiem życia
Liczebność danej grupy wiekowej	387 828	393 613	378 296	374 079	373 287
Liczba chorych z alergią pokarmową	17 452	11 021	10 592	2 525	2 520
Liczba chorych z alergią pokarmową stosujących hydrolizaty białek mleka krowiego (odpowiadający na stosowanie hydrolizatów)	16 492	10 415	10 010	2 386	2 381
Liczba chorych z alergią pokarmową nieodpowiadających na	960	606	583	139	139

Parametr	Niemowlęta	Dzieci między 1 a 2 rokiem życia	Dzieci między 2 a 3 rokiem życia	Dzieci między 3 a 4 rokiem życia	Dzieci między 4 a 5 rokiem życia
hydrolizaty białek mleka krowiego					

**Tabela 3.**  
**Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana przy uwzględnieniu częstości alergii pokarmowej u dzieci ogółem**

Parametr	Niemowlęta i dzieci do 5 r. ż.
Liczebność danej grupy wiekowej	1 911 494
Częstość występowania alergii pokarmowej	5,00%
Liczba chorych z alergią pokarmową	95 575
Odsetek chorych z alergią pokarmową, u których stosowanie hydrolizatów nie przynosi efektów klinicznych	5,50%
Liczba chorych z alergią pokarmową stosujących hydrolizaty białek mleka krowiego (odpowiadający na stosowanie hydrolizatów)	90 318
Liczba chorych z alergią pokarmową nieodpowiadających na hydrolizaty białek mleka krowiego	<b>5 257</b>

Przedstawione powyżej dane obejmują niemowlęta oraz dzieci między 1. a 5. rokiem życia z alergią pokarmową nieodpowiadających na hydrolizaty białek mleka krowiego.

Na podstawie wykorzystanych i opisanych powyżej źródeł danych określić można, iż liczebność populacji niemowląt oraz dzieci między 1. a 5. rokiem życia z alergią pokarmową nieodpowiadających na hydrolizaty białek mleka krowiego wynosi ok. 3,3 – 5,3 tys.

Wskazane powyżej oszacowania na podstawie danych epidemiologicznych dotyczą jedynie chorych poniżej 5. roku życia z alergią pokarmową nieodpowiadających na hydrolizaty białek mleka krowiego i ze względu na ograniczenia dotyczące szacowania nie zostały one wykorzystane w obliczeniach *Analizy wpływu na system ochrony zdrowia*.

---

## Dane z badania ankietowego

[redacted] (rozdział 8.5) [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 text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Rysunek 2.**

[Redacted text block]

[Large redacted area]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Tabela 4.**

[Redacted text]

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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

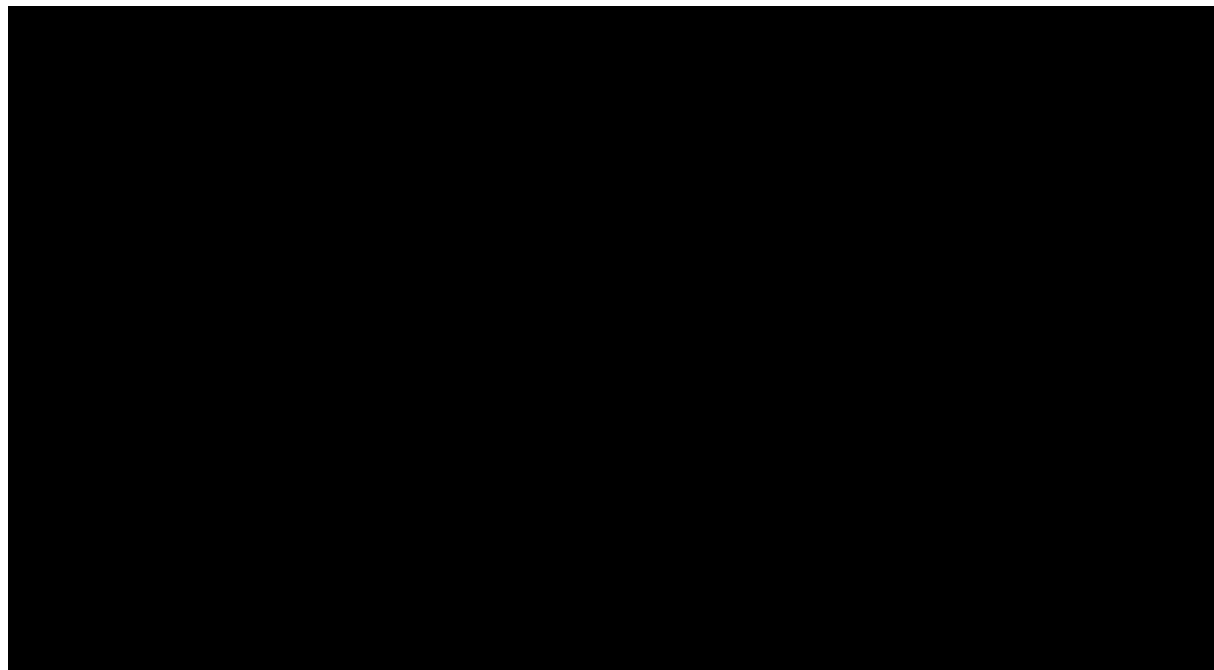
[Redacted text block]

**Tabela 5.**

[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]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

**Rysunek 3.**

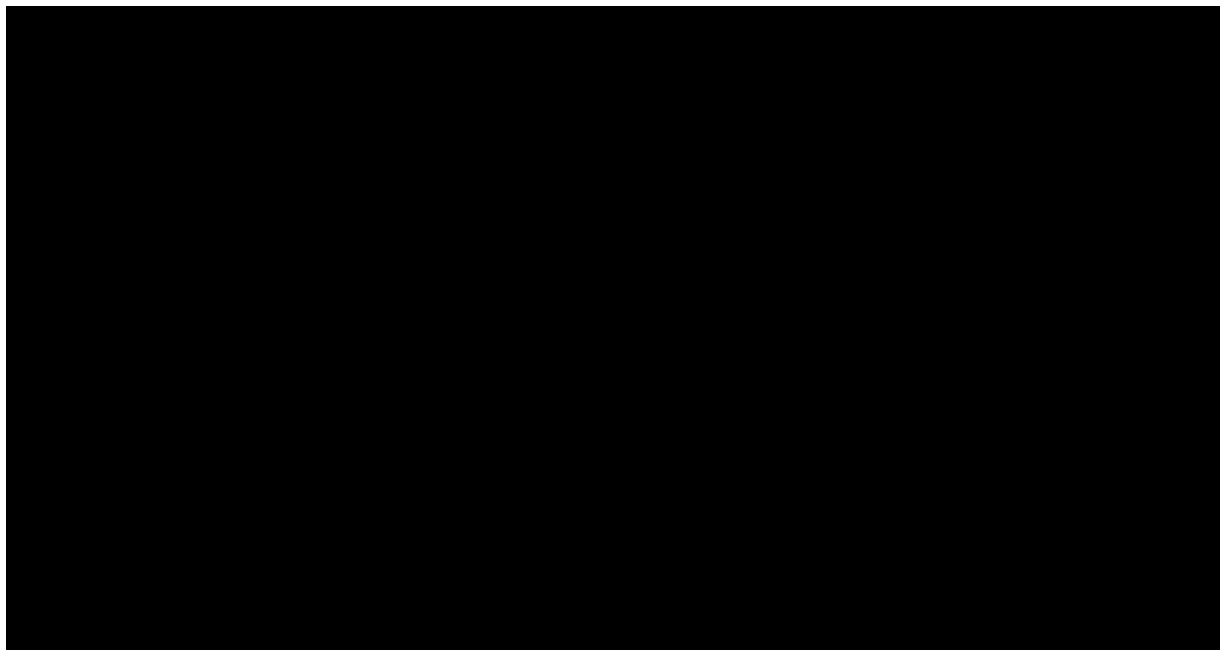




**Rysunek 4.**



**Rysunek 5.**



**Tabela 6.**







**Tabela 7.**

[Redacted content]

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

[Redacted content]

**Tabela 8.**

[Redacted content]

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

### **2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku**

Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie odnosi się do wskazania przedstawionego na etykiecie produktu Alfamino® HMO (mieszanka elementarna) W związku z tym populacja wskazana we wniosku refundacyjnym (populacja docelowa) pokrywa się z populacją chorych, u których technologia wnioskowana może być stosowana. Wielkość tej populacji przedstawiono powyżej (rozdział 2.5.1.).

### **2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana**

Obecnie produkt Alfamino® HMO nie jest w Polsce stosowany.

## 2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Populację, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, oszacowano na podstawie prognozowanych udziałów, jakie produkt Alfamino® HMO osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

### 2.5.4.1. Udziały w rynku

Udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatorów określono na podstawie *Danych dostarczonych przez Wnioskodawcę* oraz *Danych refundacyjnych NFZ*.

Udziały ŚSSPŻ stosowanych w scenariuszu istniejącym określono na podstawie zrefundowanych PDD produktów w roku 2020. W analizie wrażliwości przetestowano wariant alternatywny zakładający 100% udział ŚSSPŻ Nutramigen PURAMINO®, który jest obecnie objęty finansowaniem zarówno w grupie niemowląt jak i dzieci, czyli w populacji zbieżnej z wnioskowaną dla produktu Alfamino® HMO.

W scenariuszu nowym udział wnioskowanej technologii określono na podstawie


**Tabela 9.**  
**Udziały w rynku wnioskowanej technologii, w scenariuszu nowym uwzględnione w analizie podstawowej, w poszczególnych miesiącach horyzontu czasowego analizy**

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

**Tabela 10.**

**Udziały w rynku wnioskowanej technologii, w scenariuszu nowym uwzględnione w analizie podstawowej i w analizie wrażliwości**

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

Przyjęto, iż udział pozostałych ŚSSPŻ stosowanych w scenariuszu nowym zmniejszy się proporcjonalnie.

W tabeli poniżej zestawiono oszacowane udziały w rynku uwzględnione w analizie podstawowej.

**Tabela 11.**  
**Udziały w rynku uwzględnione w analizie podstawowej**



#### 2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

Uwzględniając udziały w rynku (rozdział 2.5.4.1.) oraz wielkość populacji docelowej (rozdział 2.5.2.) oszacowano liczbę chorych leczonych technologią wnioskowaną.

**Tabela 12.**  
**Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana**



Wielkość dostaw produkt Alfamino® HMO konieczną do zastosowania terapii w oszacowanej populacji chorych, przedstawiono w załączniku (rozdział 8.4.).

#### 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji Alfamino® HMO, produkt ten nie będzie stosowany.

## 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

W tabeli poniżej przedstawiono wartości oszacowań populacyjnych wykonanych w niniejszej analizie wpływu na system ochrony zdrowia (opisanych w rozdziałach 2.5.1. – 2.5.5.).

**Tabela 13.**

**Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**



## 2.6. Analiza kosztów

Kategorie kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej*. Wpływ na wynik końcowy, a więc na wartość wydatków inkrementalnych płatnika publicznego, mają całkowite koszty różniące. Całkowite koszty różniące zdefiniowano jako koszty występujące w ramach jednego ze scenariuszy, a więc różniące oceniane technologie medyczne.

W analizie z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- ⊗ koszty środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego.

Wymienione kategorie kosztowe stanowią całkowite koszty różniące oceniane technologie medyczne.

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich: koszt przepisania i podania ŚSSPŻ, koszt leczenia zdarzeń niepożądanych, koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia uznano za nieróżniące, zaliczając je do kategorii kosztów wspólnych. Koszty te (jako koszty wspólne dla technologii wnioskowanej i komparatora) nie mają wpływu na wyniki analizy. Nie były zatem ostatecznie brane pod uwagę w obliczeniach. W poniższej tabeli wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

**Tabela 14.**  
**Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne**

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszt przepisania i podania leków	Przyjęto, iż liczba wizyt u lekarza w ramieniu interwencji jest taka sama jak liczba wizyt w ramieniu komparatora.
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania terapii w <i>Analizie klinicznej</i> nie wykazano różnic pomiędzy technologią ocenianą i komparatorem.
Koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia	W związku z przyjętą liczbą wizyt u lekarza w ramieniu interwencji koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia jest taki sam w ramieniu komparatora.

Zużycie zasobów opieki zdrowotnej przypadające na przeciętnego pacjenta w cyklu uwzględnionym w modelu (tj. średni koszt leczenia chorego) oszacowano na podstawie danych pochodzących z: etykiet preparatów Alfamino® HMO, Nutramigen PURAMINO®, Nutramigen PURAMINO JUNIOR®, Neocate LCP®, Neocate Junior®.

Cenę jednostkową wnioskowanej technologii uzyskano od Wnioskodawcy [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę]. Koszt pozostałych produktów stosowanych w analizowanym problemie zdrowotnym oszacowano na podstawie *Wykazu leków refundowanych*. Przeprowadzono również oszacowanie kosztów na podstawie *Danych refundacyjnych NFZ*, jednak ze względu na bardzo zbliżone wartości do cen oszacowanych na podstawie *Wykazu leków refundowanych*, odstąpiono od uwzględnienia takiego wariantu w analizie.



Ponieważ poszczególne kategorie kosztowe zostały scharakteryzowane i skalkulowane w ramach *Analizy ekonomicznej* w analizie wpływu na system ochrony zdrowia zaprezentowano jedynie koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz modelowanie i podsumowanie kosztów.

## 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej

Do obliczenia kosztu stosowania wnioskowanej technologii medycznej konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz cen jednostkowych wnioskowanej prezentacji ŚSSPŻ.

### 2.6.1.1. Dawkowanie

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Alfamino® HMO jest preparatem opartym na aminokwasach. Stanowi dietą kompletną, dlatego też może w pełni pokrywać dobowe zapotrzebowanie na składniki odżywcze. U dzieci od 6. miesiąca życia stanowi dietę suplementarną do wprowadzanych stopniowo produktów żywnościowych. W swoim składzie oprócz składników koniecznych do pokrycia niezbędnego zapotrzebowania na składniki odżywcze, preparat zawiera średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe, kwas arachidonowy (ARA), kwas dokozaheksaenowy (DHA), oligosacharydy mleka kobiecego (HMO) oraz strukturyzowane lipidy [Alfamino HMO 2020].

W poniższej tabeli przedstawiono szczegółowy skład preparatu.

**Tabela 15.**  
**Skład preparatu Alfamino® HMO**

Składniki odżywcze	Zawartość w 100 ml
Wartość energetyczna [kJ/kcal]	277/66
Tłuszcze ogółem [g] (44% kcal)	3,3
Kwasy tłuszczowe nasycone [g]	1,1
MCT* [g]	0,80
Kwasy tłuszczowe w pozycji sn-2 [g]	0,07
Kwasy tłuszczowe jednonienasycone [g]	1,2
Kwasy tłuszczowe wielonienasycone [g]	0,69
Kwas alfa-linolenowy [mg]	53

Składniki odżywcze	Zawartość w 100 ml
DHA [mg]	18
Kwas linolowy [mg]	532
ARA [mg]	18
Węglowodany ogółem [g] (44% kcal)	7,3
Cukry [g]	0,53
Laktoza [g]	<0,05/100g
Błonnik (1% kcal) [g]	0,15
Lakto-N-neotetraoza [g]	0,05
2'-Fukozylolaktoza [g]	0,10
Białko [g] (11% kcal)	1,8
Sól [g]	0,065
<b>Witaminy</b>	
Witamina A [µg]	66
Witamina D [µg]	1,7
Witamina E [mg]	1,5
Witamina K [µg]	6,0
Witamina C [mg]	11
Tiamina (witamina B <sub>1</sub> ) [mg]	0,068
Ryboflawina (witamina B <sub>2</sub> ) [mg]	0,13
Niacyna [mg/mg NE**]	0,93/1,6
Witamina B <sub>6</sub> [mg]	0,053
Kwas foliowy [µg]	10
Foliany (DFE***) [µg]	17
Witamina B <sub>12</sub> [µg]	0,20
Biotyna [µg]	1,6
Kwas pantotenowy (witamina B <sub>5</sub> ) [mg]	0,44
<b>Składniki mineralne</b>	
Sód [mg]	26
Potas [mg]	76
Chlorki [mg]	56
Wapń [mg]	70
Fosfor [mg]	47
Magnez [mg]	6,0
Żelazo [mg]	0,66
Cynk [mg]	0,66

Składniki odżywcze	Zawartość w 100 ml
Miedź [mg]	0,057
Mangan [mg]	0,0090
Selen [µg]	3,5
Jod [µg]	15
Pozostałe	
Tauryna [mg]	5,3
L-karnityna [mg]	1,1
Cholina [mg]	19
Inozytol [mg]	4,7
Osmolalność (13,3% g/Vol) [mOsm/l]	299

\*średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe

\*\*równoważnik niacyny

\*\*\*równoważnik folianów

W celu przygotowania porcji diety należy odmierzyć odpowiednią ilość przegotowanej i ostudzonej do temperatury ok. 37°C wody i nalać ją do czystej, wysterylizowanej butelki. Następnie należy odmierzyć odpowiednią ilość proszku Alfamino® HMO, używając załączonej do opakowania miarki, wsypać proszek do wody i dokładnie wymieszać [Alfamino HMO 2020].

Ilości preparatu zalecane do spożycia zależne są od wieku dziecka, które podano w poniższej tabeli [Alfamino HMO 2020].

**Tabela 16.**  
**Dawkowanie preparatu Alfamino® HMO**

Wiek	Ilość na porcję		Dzienna liczba karmień	Ilość proszku na dzień (g)
	Woda [ml]	Płaskie miarki*		
1-2 tygodnie	90	3	6	79,20
3-4 tygodnie	120	4	5	88,00
2. miesiąc życia	150	5	5	110,00
3.-4. miesiąc życia	180	6	5	132,00
5.-6. miesiąc życia	210	7	5	154,00
od 7. miesiąca życia**	210	7	3-4	107,80

\*nie należy zmieniać proporcji. Należy używać tylko miarki załączonej do opakowania preparatu (4,4 g). Użycie większej lub mniejszej ilości proszku niż wskazana może prowadzić do odwodnienia organizmu lub do niedożywienia dziecka

\*\*przed wprowadzeniem nowych posiłków do diety dziecka, należy skontaktować się z lekarzem


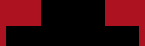
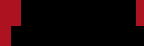

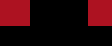


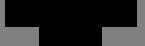






### 2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

Obecnie produkt Alfamino® HMO nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. W analizie, zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że będzie on dostępny w aptece na receptę i wydawany świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Uwzględniono ponadto finansowanie ŚSSPŻ w nowej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.2. W związku z tym, że produkt Alfamino® HMO dostępny jest w postaci jednej prezentacji, przyjęto, że będzie ona wyznaczała podstawę limitu w grupie limitowej.

Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu, cenę hurtową brutto oraz cenę detaliczną ŚSSPŻ.

Szczegółowa charakterystyka cenowa nowej grupy limitowej została zaprezentowana w poniższej tabeli.

**Tabela 17.**  
**Ceny Alfamino HMO uwzględnione w analizie (PLN)**

Na podstawie wskazanego dawkowania (PDD) oraz cen leków wyznaczono koszt ŚSSPŻ w przeliczeniu na opakowanie oraz za PDD produktu. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

**Tabela 18.**  
**Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)**

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

## 2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 19.**  
**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

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

Alfamino® HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej – analiza wpływu na system ochrony zdrowia

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

---

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku ŚSSPŻ oraz całkowite koszty różniące leczenia jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

### 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2020 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą [REDACTED] w 2020 roku.<sup>3</sup>

Obecnie produkt Alfamino® HMO nie jest stosowany w analizowanej populacji chorych. Koszt ŚSSPŻ jest zatem zerowy.

### 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka [REDACTED] oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

---

<sup>3</sup> Na podstawie *Danych refundacyjnych NFZ* aproksymowane wydatki za 2020 rok wynoszą około 88 mln PLN

---



**Tabela 20.**

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

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

**Tabela 21.**

[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]						

[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]

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Tabela 22.

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

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

**Tabela 23.**

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

\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

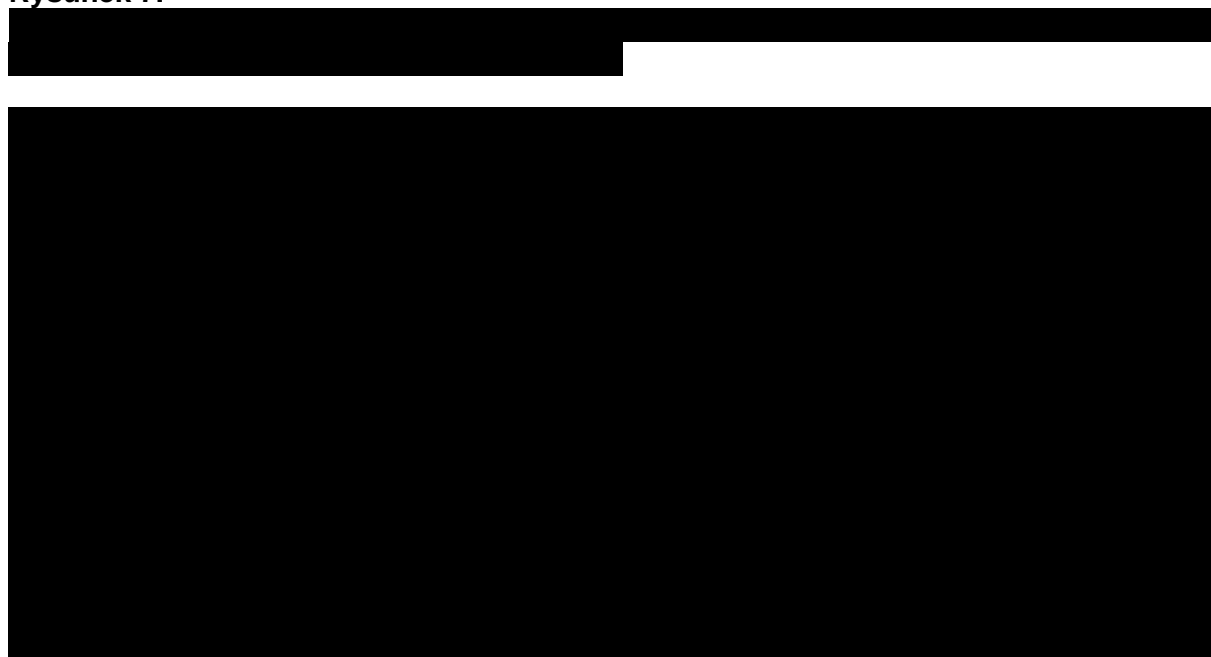
---

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono również graficznie na poniższym wykresie.

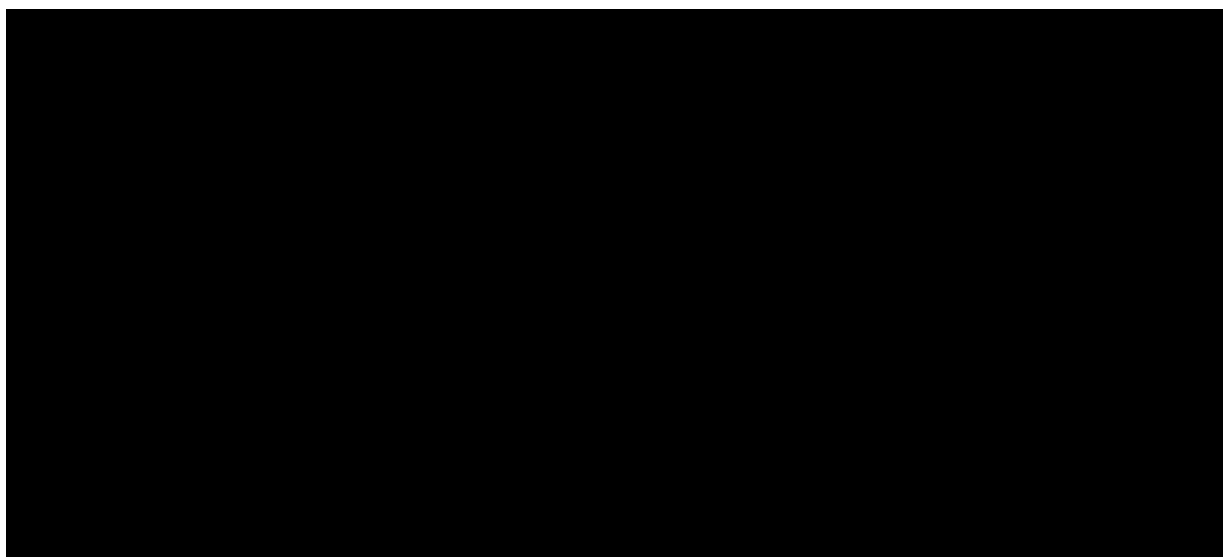
**Rysunek 6.**



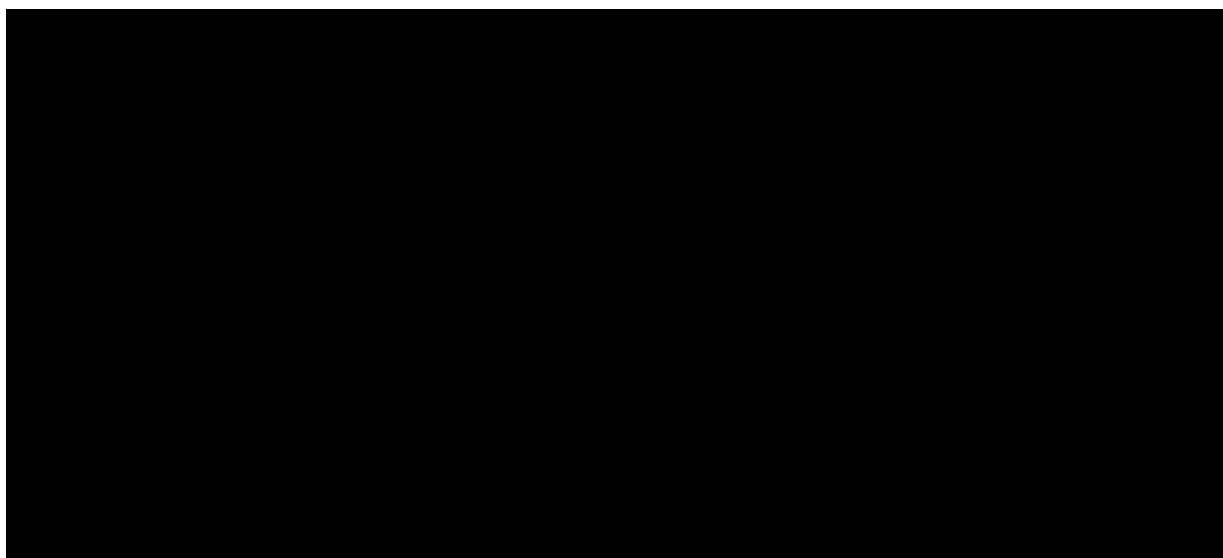
**Rysunek 7.**



**Rysunek 8.**



**Rysunek 9.**



---

### 3. Analiza wrażliwości

Analizę wrażliwości przeprowadzono dla parametrów, które w największym stopniu obciążone są niepewnością i mają potencjalnie największy wpływ na wyniki. Dla parametrów tych przeprowadzono analizę wartości skrajnych (ang. *extreme value analysis*), która ocenia wpływ na wyniki analizy przyjęcia przez te parametry wartości ekstremalnych.

Testowane parametry i ich zakres oraz scenariusze alternatywne przedstawiono w Rozdziale 2.7.

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli.

Podkreślić należy, że przy zmianie każdego parametru wnioskowanie z analizy nie ulega zmianie.

---









---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Alfamino® HMO (mieszanka elementarna) stosowanego w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej, w ramach *Wykazu leków refundowanych*, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania ŚSSPŻ. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym profilem choroby, związanym z objawami alergii na białko mleka krowiego. Właściwe leczenie chorych niemowląt i dzieci z tak licznymi objawami leży w interesie społecznym i powinno stanowić priorytet z punktu widzenia Ministra Zdrowia.

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki postępowania dietetycznego u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować postępowanie dietetyczne jedynie przy pomocy produktów Neocate (Neocate LCP®, Neocate Junior®) oraz Nutramigen PURAMINO® i Nutramigen PURAMINO JUNIOR®, teraz będą mogli skorzystać również z innowacyjnej terapii produktem Alfamino® HMO. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji

---

---

finansowanie produktu Alfamino® HMO zapewni niemowlętom i dzieciom we wnioskowanej populacji dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas postępowania dietetycznego oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.

Bardziej akceptowalny smak preparatu przekłada się na lepszą skuteczność leczenia związaną z przestrzeganiem zaleceń lekarskich. Zastosowanie preparatu Alfamino® HMO u dzieci z alergią na BMK wiąże się z szeroko pojętą poprawą ich stanu zdrowia: mniejszą częstością infekcji dróg oddechowych i przewodu pokarmowego, zmniejszoną częstością występowania różnych postaci alergii, w tymi atopowego zapalenia skóry, zwiększoną odpornością na zakażenia. U dzieci karmionych mieszanką Alfamino® HMO dzięki obecności tłuszczów strukturalnych następuje poprawa wchłaniania wapnia z przewodu pokarmowego, co skutkuje lepszą mineralizacją kości i mniejszą częstością występowania objawów krzywicy oraz wpływa pozytywnie na przewodnictwo w układzie nerwowym. Lepsza mineralizacja kośćca w okresie rozwojowym wpływa pozytywnie na osiągnięcie szczytowej masy kostnej w dalszym życiu. Zmniejszenie tworzenia i wydalania mydeł wapniowych poprawia konsystencję stolców i zmniejsza częstość zaparć. Poprawa wchłaniania tłuszczów w przewodzie pokarmowym powoduje lepsze odżywienie i rozwój organizmu dziecka. Stosowanie produktu Alfamino® HMO poprawia również jakość życia niemowląt poprzez poprawę jakości snu, co wywiera pozytywny wpływ na funkcje poznawcze.

Podsumowując stosowanie mieszanki Alfamino® HMO w grupie niemowląt i dzieci z alergią na BMK wymagających zastosowania diety elementarnej zapewnia choremu dziecku dobrostan psychofizyczny, prawidłowy rozwój, wyciszenie reakcji immunologicznej organizmu, przyspieszenie nabywania tolerancji immunologicznej na uczulający antygen, zmniejszenie ryzyka rozwoju marszu alergicznego, znacząco wpływa na polepszenie komfortu życia dziecka i rodziny oraz skraca proces leczenia dziecka.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania technologii wnioskowanej, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

---

**Tabela 28.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
<b>Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać ponadprzeciętny lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
<b>Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
<b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

## 6. Założenia i ograniczenia

---



---



---



---



---



---



---



---



---



---

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach odrębnej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.2. Podstawę limitu w tej grupie limitowej stanowić będzie produkt Alfamino® HMO w związku z tym, że to jedyna prezentacja wnioskowanej technologii medycznej. Podejście takie jest zgodne z zapisami *Ustawy o refundacji*.

Dodatkowo przyjęto, że przeciętny rok trwa dokładnie 365,25 dni.

---

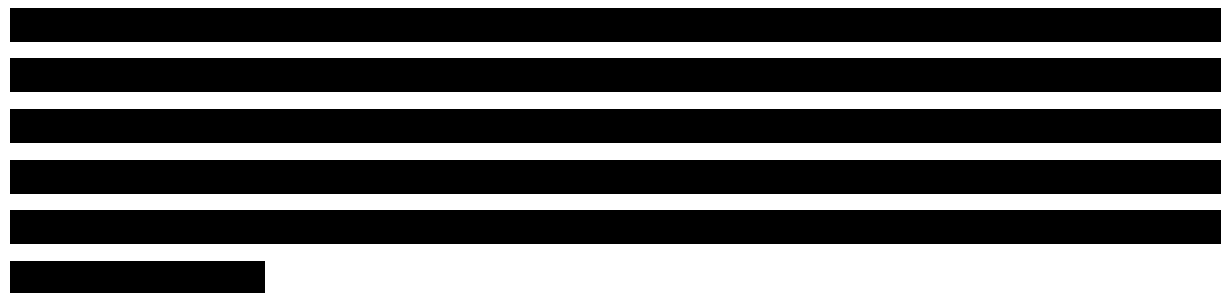
## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu produktu Alfamino® HMO do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności ŚSSPŻ stosowany w aptece na receptę.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją pacjenci w wieku rozwojowym wymagający postępowania dietetycznego w przypadku ciężkiej postaci alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej.

Wpływ na system ochrony zdrowia określono w odniesieniu do następujących obszarów:

- ⊗ populacyjnych (oszacowanie potencjału rynkowego ŚSSPŻ oraz prognoza liczebności populacji, która prawdopodobnie skorzysta z ŚSSPŻ w sytuacji jego sfinansowania);
- ⊗ finansowych (analiza wpływu na budżet);
- ⊗ organizacji udzielania świadczeń;
- ⊗ etycznych i społecznych.



Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi wprowadzenie do refundacji technologii wnioskowanej. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta. Analizę wykonano dla okresu dwuletniego, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Uwzględniono koszty ŚSSPŻ.

---

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że ŚSSPŻ Alfamino® HMO po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w aptece na receptę i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Uwzględniono ponadto finansowanie produktu w oddzielnej grupie limitowej. Cenę zbytu netto ŚSSPŻ Alfamino® HMO otrzymano od Wnioskodawcy.

Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz aspekty etyczne i społeczne zostały określone zgodnie z metodyką zaproponowaną w *Wytycznych AOTMiT*.

[REDACTED]

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki postępowania dietetycznego u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego, alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować postępowanie dietetyczne jedynie przy pomocy produktów Neocate (Neocate LCP®, Neocate Junior®) oraz Nutramigen PURAMINO® i Nutramigen PURAMINO JUNIOR®, teraz będą mogli skorzystać również z innowacyjnej terapii produktem Alfamino® HMO. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji produktu Alfamino® HMO należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla grupy chorych niemowląt i dzieci, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Finansowanie produktu Alfamino® HMO u chorych we wnioskowanym wskazaniu przyczyni się do poprawy zależnej od zdrowia jakości życia niemowląt i dzieci z ciężką alergią na białka pokarmowe, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie priorytetów zdrowotnych*)

Finansowanie wnioskowanej technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.



## 8. Załączniki

### 8.1. Dane refundacyjne NFZ

Tabela 29.

Liczba opakowań zrefundowanych przez NFZ w latach 2016-2018 (spośród dostępnych danych) w ujęciu miesięcznym

ROK 2016													
Nazwa	EAN	styczeń	luty	marzec	kwiecień	maj	czerwiec	lipiec	sierpień	wrzesień	październik	listopad	grudzień
Neocate LCP, proszek	5016533646740	9 731	10 603	12 420	12 874	12 175	11 880	10 876	11 721	10 702	10 596	10 683	13 572
Neocate Junior /Advance	5016533616170	7 612	8 676	8 975	9 907	9 183	10 470	10 031	10 008	9 775	9 599	9 526	11 815
Nutramigen PURAMINO	8712045027554	7 103	7 738	8 210	9 300	8 591	9 544	8 852	8 988	8 612	7 994	8 816	11 448
ROK 2017													
Nazwa	EAN	styczeń	luty	marzec	kwiecień	maj	czerwiec	lipiec	sierpień	wrzesień	październik	listopad	grudzień
Neocate LCP, proszek	5016533646740	12 261	12 586	14 438	15 543	14 419	16 092	14 839	15 268	13 833	14 108	14 380	14 680
Neocate Junior /Advance	5016533616170	9 981	9 191	11 069	10 771	10 197	11 272	10 890	11 990	10 915	11 989	11 860	12 728
Nutramigen PURAMINO	8712045027554	10 313	11 067	13 364	13 715	13 468	14 540	13 694	13 890	13 674	14 372	14 171	14 988
ROK 2018													
Nazwa	EAN	styczeń	luty	marzec	kwiecień	maj	czerwiec	lipiec	sierpień	wrzesień	październik	listopad	grudzień
Neocate LCP, proszek	5016533646740	17100	15180	19173	18847	19367	20200	20205	20431	18168	20259	18647	21700
Neocate Junior	5016533616170	13335	12259	14758	13547	12954	14370	13597	13844	13414	15502	14283	15905
Nutramigen PURAMINO	8712045027554	16012	14972	17501	16113	15844	16675	15826	15672	15582	17216	15890	16943

---

Dane dla roku 2019 oraz roku 2020 nie są dostępne dla każdego miesiąca. Oszacowano w związku z tym jedynie przybliżone wielkości refundacji opakowań w okresie rocznym. Dla roku 2019, dla miesięcy od kwietnia do grudnia oszacowano liczbę opakowań biorąc pod uwagę wyznaczone koszty poszczególnych opakowań na podstawie danych NFZ oraz całkowite koszty refundacji, natomiast roczną liczbę zrefundowanych opakowań dla roku 2020 oszacowano uwzględniając dane dotyczące liczby zrefundowanych opakowań do listopada dla 11 miesięcy (liczba opakowań w okresie rocznym = liczbie opakowań w okresie 11 miesięcy\*12/11).

---

---

## 8.2. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

Na podstawie art. 15 *Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* należy stwierdzić, że środek spożywczy specjalnego przeznaczenia Alfamino® HMO można zakwalifikować do nowej grupy limitowej.

Uzasadnieniem utworzenia osobnej grupy limitowej dla preparatu Alfamino® HMO jest innowacyjny skład produktu oraz Opinia Rady Przejrzystości nr 34/2014 z dnia 28 stycznia 2014 r. w sprawie zasadności utworzenia odrębnych grup limitowych dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego [Opinia Rady Przejrzystości w sprawie zasadności utworzenia odrębnych grup limitowych].

„Rada Przejrzystości uważa za zasadne utworzenie odrębnych grup limitowych dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (mieszanek elementarnych) objętych dotąd obecnie refundacją w ramach wspólnej grupy limitowej”. Ponadto zgodnie z opinią Rady, „ze względu na równość społeczną, aby nie wykluczać dzieci pochodzących z biedniejszych rodzin, Rada Przejrzystości proponuje, by mlekozastępcze mieszanki elementarne były wydawane na receptę, z opłatą ryczałtową”. Mimo wcześniejszej wspólnej grupy limitowej analizowane przez Radę Przejrzystości ŚSSPŻ. po opublikowaniu Opinii Rady zostały umieszczone w osobnych grupach limitowych, każdy z ryczałtową odpłatnością dla pacjenta. Takie rozdzielenie produktów pozwala na równe obciążenie finansowe rodziców dzieci z ciężką alergią pokarmową, a także nie faworyzuje żadnego produktu refundowanego we wnioskowanym wskazaniu. Dodatkowo, należy mieć na uwadze, że opieka zdrowotna dzieci do lat 3 jest jednym z priorytetów Ministra Zdrowia.

Drugim niezwykle ważnym argumentem wskazującym na zasadność utworzenia odrębnej grupy limitowej jest innowacyjny skład mieszanki elementarnej Alfamino® HMO. Preparat Alfamino® HMO oprócz niezbędnych makro- i mikroelementów (dieta kompletna), został również wzbogacony o innowacyjne składniki, tj. oligosacharydy mleka kobiecego oraz tłuszcze strukturalne. Dzieci z alergią na białko mleka krowiego narażone są znacznie bardziej niż populacja zdrowa na niedobry żywieniowe, co w konsekwencji może się przekładać na ich

---


późniejszy rozwój fizyczny i psychiczny. Dlatego też należy przykładać szczególną wagę na dostarczane w diecie składniki odżywcze.

Podsumowując, zarówno z etycznego i finansowego punktu widzenia, a także biorąc pod uwagę innowacyjny skład produktu, zasadnym jest umiejscowienie nowego ŚSSPŻ Alfamino® HMO w osobnej grupie limitowej.

### **8.3. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**

**Tabela 30.**  
**Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**





















Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.1.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.2.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
2.1.	Aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków	TAK, rozdział 2.8.2.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
	publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.2.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 6.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 6.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>	
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> <li>w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul>	TAK, rozdział 8.2.



Alfamino® HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej – analiza wpływu na system ochrony zdrowia

---

---

## 9. Spis tabel

Tabela 1. Parametry wykorzystane do oszacowania populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.....18

Tabela 2. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana przy uwzględnieniu zróżnicowanej częstości alergii pokarmowej.....19

Tabela 3. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana przy uwzględnieniu częstości alergii pokarmowej u dzieci ogółem.....19

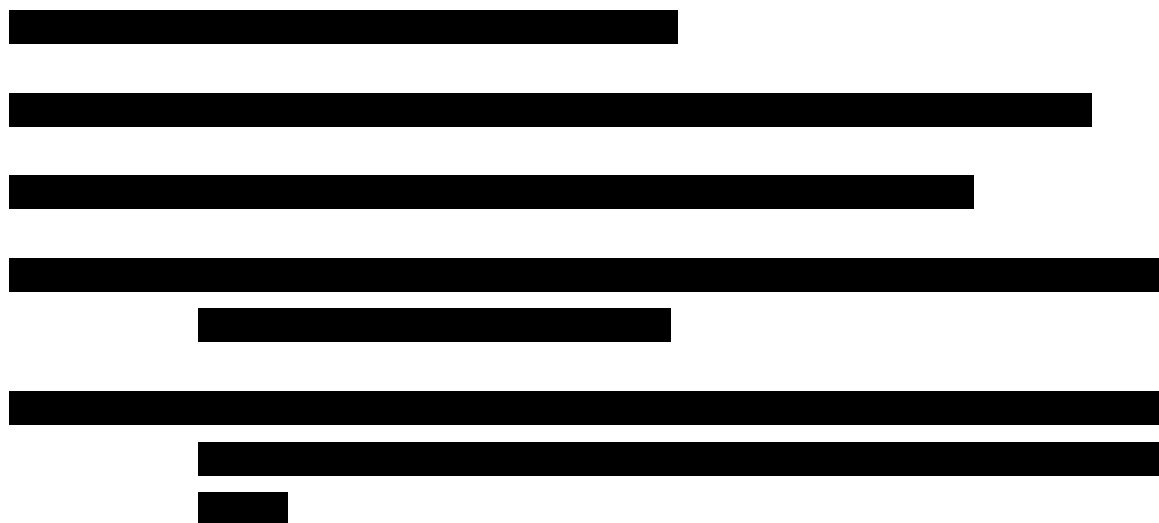


Tabela 9. Udziały w rynku wnioskowanej technologii, w scenariuszu nowym uwzględnione w analizie podstawowej, w poszczególnych miesiącach horyzontu czasowego analizy.....28

Tabela 10. Udziały w rynku wnioskowanej technologii, w scenariuszu nowym uwzględnione w analizie podstawowej i w analizie wrażliwości.....29

Tabela 11. Udziały w rynku uwzględnione w analizie podstawowej.....30



Tabela 12. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana .....	30
Tabela 13. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	31
Tabela 14. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne .....	32
Tabela 15. Skład preparatu Alfamino® HMO.....	33
Tabela 16. Dawkowanie preparatu Alfamino® HMO.....	35
Tabela 17. Ceny Alfamino HMO uwzględnione w analizie (PLN).....	36
Tabela 18. Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN) ....	37
Tabela 19. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	38
Tabela 20. [REDACTED] .....	41
Tabela 21. [REDACTED] .....	41
Tabela 22. [REDACTED] .....	42
Tabela 23. [REDACTED] .....	43
Tabela 24. [REDACTED] .....	47
Tabela 25. [REDACTED] .....	47
Tabela 26. [REDACTED] .....	48

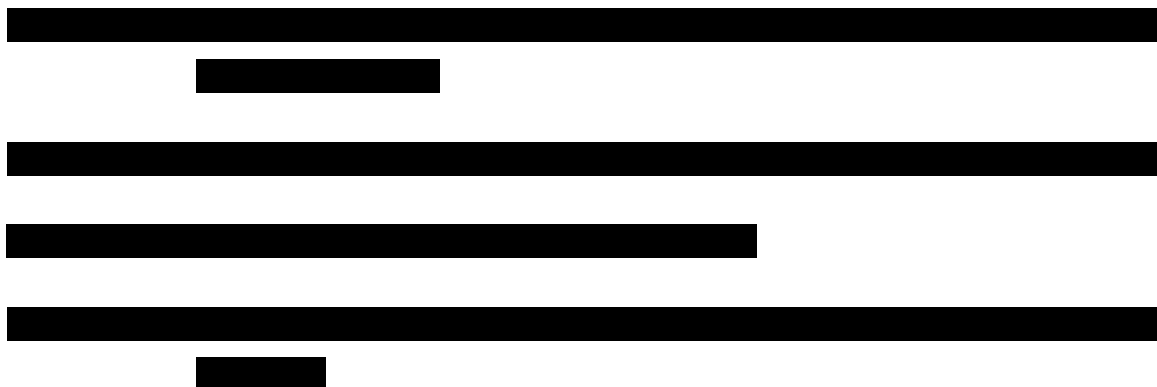
---

Tabela 27. [REDACTED]	
[REDACTED]	49
Tabela 28. Aspekty społeczne i etyczne	52
Tabela 29. Liczba opakowań zrefundowanych przez NFZ w latach 2016-2018 (spośród dostępnych danych) w ujęciu miesięcznym	57
Tabela 30. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	60
Tabela 31. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań ŚSSPŻ Alfamino® HMO (w miesięcznych okresach)	62
Tabela 32. Odpowiedzi ekspertów klinicznych brane pod uwagę w oszacowaniu populacji, w której technologia wnioskowana może być stosowana	62

---

## 10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....16



Rysunek 6. [czarna linia] .....44

Rysunek 7. [czarna linia] .....44

Rysunek 8. [czarna linia] .....45

Rysunek 9. [czarna linia] .....45

## 11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna, Alfamino® HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej – analiza ekonomiczna, Warszawa 2021
Analiza kliniczna	Analiza kliniczna, Alfamino® HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej – analiza kliniczna, Warszawa 2021
Analiza problemu decyzyjnego	Analiza problemu decyzyjnego, Alfamino® HMO (preparat mlekozastępczy oparty na mieszaninie aminokwasów) w postępowaniu dietetycznym u pacjentów w wieku rozwojowym w przypadku ciężkiej alergii na białka pokarmowe lub braku ustąpienia objawów po zastosowaniu silnych hydrolizatów białek mleka krowiego (preparatów EHF), alergii wielopokarmowej lub w stanach wymagających zastosowania diety elementarnej – analiza problemu decyzyjnego, Warszawa 2021
Alfamino HMO 2020	Alfamino HMO, etykieta na opakowanie
Analiza weryfikacyjna Agencji – Bebilon Pepti Syneo	Analiza weryfikacyjna Agencji do zlecenia nr: OT.4330.9.2018, <i>Zespoły wrodzonych defektów metabolicznych, alergie pokarmowe i biegunki przewlekłe</i>
Bąk-Romaniszyn 2013	Bąk-Romaniszyn L., Czkwianianc E., Cywińska-Bernas A. i in., <i>Choroby społeczne i cywilizacyjne – wybrane zagadnienia</i> , Uniwersytet Medyczny w Łodzi, 2013
Dane demograficzne GUS	Główny Urząd Statystyczny, Ludność, Główny Urząd Statystyczny / Obszary tematyczne / Ludność / Ludność / Ludność. Stan i struktura oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym w 2018 r. Stan w dniu 30 VI (data dostępu: 20.01.2021 r.)
Dane dostarczone przez Wnioskodawcę	Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii medycznej; ██████████ udziałów wnioskowanej technologii w scenariuszu nowym
Dane refundacyjne NFZ	NFZ, Komunikaty DGL – Wartość refundacji cen leków według kodów EAN (Zdrowe dane, data dostępu 01.03.2021 r.)
Etykiety diet eliminacyjnych: Neocate LCP®	Etykiety diet eliminacyjnych – informacje zawarte na stronach internetowych, <a href="http://neocate.com.pl/o-neocate/przygotowanie-i-przechowywanie-gotowej-porcji/">neocate.com.pl/o-neocate/przygotowanie-i-przechowywanie-gotowej-porcji/</a> <a href="http://neocate.com.pl/wp-content/uploads/2020/04/NeocateLCP-list-zmiana-rodzice-200323.pdf">neocate.com.pl/wp-content/uploads/2020/04/NeocateLCP-list-zmiana-rodzice-200323.pdf</a>
Etykiety diet eliminacyjnych: Neocate Junior®	Etykiety diet eliminacyjnych – informacje zawarte na stronach internetowych, <a href="http://neocate.com.pl/o-neocate/przygotowanie-i-przechowywanie-gotowej-porcji/">neocate.com.pl/o-neocate/przygotowanie-i-przechowywanie-gotowej-porcji/</a> <a href="http://neocate.com.pl/o-neocate/neocate-junior/">neocate.com.pl/o-neocate/neocate-junior/</a>

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Etykiety diet eliminacyjnych: Nutramigen PURAMINO®	Etykiety diet eliminacyjnych – informacje zawarte na stronach internetowych, <a href="http://www.nutramigen.pl/produkty/ciezka-alergia-na-bialko-mleka-krowiego/nutramigen-puramino/">www.nutramigen.pl/produkty/ciezka-alergia-na-bialko-mleka-krowiego/nutramigen-puramino/</a>
Etykiety diet eliminacyjnych: Nutramigen PURAMINO JUNIOR®	Etykiety diet eliminacyjnych – informacje zawarte na stronach internetowych, <a href="http://www.nutramigen.pl/produkty/ciezka-alergia-na-bialko-mleka-krowiego/nutramigen-puramino-junior/">www.nutramigen.pl/produkty/ciezka-alergia-na-bialko-mleka-krowiego/nutramigen-puramino-junior/</a>
EuroPrevall	Final Report – EuroPrevall, <i>The prevalence, cost and basis of food allergy across Europe</i> , 2009
Kaczmarek 2003	Kaczmarek M., Cudowska B., Bandzul K. i in., <i>Częstość występowania nadwrażliwości pokarmowej u niemowląt w regionie ptn.-wsch. Polski</i> , 2003 <a href="https://www.researchgate.net/publication/230823573_Czestosc_wystepowania_nadwrazliwosci_pokarmowej_u_niemowlat_w_regionie_pln-wsch_Polski">https://www.researchgate.net/publication/230823573_Czestosc_wystepowania_nadwrazliwosci_pokarmowej_u_niemowlat_w_regionie_pln-wsch_Polski</a>
Kaczmarek 2009	Kaczmarek M., Korotkiewicz-Kaczmarek E., Kawnik K., <i>Nadwrażliwość pokarmowa u dzieci i młodzieży</i> , <i>Standardy medyczne/Pediatrics</i> , 2009, 6; 10-17
Kaczmarek 2012	Kaczmarek M., Żur E., Kondej-Muszyńska K., <i>Therapeutic and nutritional applications of amino acid-based elemental formulas in children with food allergies: a preliminary report</i> , <i>Postępy Dermatologii I Alergologii</i> , 2012, XXIX (2); 86-93
Opinia Rady Przejrzystości w sprawie zasadności utworzenia odrębnych grup limitowych	Opinia Rady Przejrzystości nr 34/2014 z dnia 28 stycznia 2014 r. w sprawie <i>zasadności utworzenia odrębnych grup limitowych dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego objętych obecnie refundacją w ramach wspólnej grupy limitowej</i>
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 8 stycznia 2021 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu, o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 lutego 2018 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, Dz.U. 2011 Nr 122 Poz. 696
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Wykaz leków refundowanych	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 lutego 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 marca 2021 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016