



**Sialanar<sup>®</sup> (bromek glikopironium)  
stosowany w objawowym leczeniu ciężkiej postaci  
ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania  
śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat  
z mózgowym porażeniem dziecięcym**

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.1

Warszawa, 18.09.2023 r.

---

W dniu 18.09.2023 r. *Analiza wpływu na system ochrony zdrowia* została zmieniona w związku z uwagami zawartymi w Piśmie OT.423.0.17.2023.2.DPM. Pierwotnie analiza została zakończona 13 lutego 2023 r.

Lista osób zaangażowanych w opracowanie analizy

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

---

## 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>10</b> |
| <b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>   | <b>10</b> |
| 2.1. Metodyka analizy .....   | 10        |
| 2.2. Horyzont czasowy .....   | 11        |
| 2.3. Perspektywa .....  | 12        |
| 2.4. Scenariusze porównywane .....  | 12        |
| 2.5. Populacja .....  | 13        |
| 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....   | 13        |
| 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....  | 19        |
| 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....   | 20        |
| 2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją .....     | 20        |
| 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją ..... | 21        |
| 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....   | 21        |
| 2.6. Analiza kosztów .....  | 22        |

---

---

|  |           |
|--|-----------|
| 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej .....   | 23        |
| 2.6.2. Modelowanie kosztów .....   | 26        |
| 2.6.3. Podsumowanie kosztów.....   | 27        |
| 2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....  | 29        |
| 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....   | 34        |
| 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe.....   | 34        |
| 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....  | 34        |
| <b>3. Analiza wrażliwości.....</b>   | <b>38</b> |
| <b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>   | <b>44</b> |
| <b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>  | <b>44</b> |
| <b>6. Ograniczenia.....</b>  | <b>47</b> |
| <b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe.....</b>  | <b>48</b> |
| <b>8. Załączniki .....</b>   | <b>51</b> |
| 8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej ..  | 51        |
| 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań ..... | 52        |
| 8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej .....  | 54        |
| <b>9. Spis tabel .....</b>   | <b>55</b> |
| <b>10. Spis rysunków.....</b>  | <b>57</b> |
| <b>11. Bibliografia.....</b>   | <b>58</b> |

---

## Indeks skrótów

| Skrót  | Rozwinięcie   |
|--------|---|
| AE     | ang. <i>adverse events</i> – zdarzenia niepożądane  |
| AKL    | analiza kliniczna   |
| AOTMiT | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  |
| AWA    | analiza weryfikacyjna AOTMiT  |
| b.d.   | brak danych   |
| BIA    | ang. <i>budget impact analysis</i> – analiza wpływu na system ochrony zdrowia   |
| ChPL   | Charakterystyka Produktu Leczniczego  |
| CI     | ang. <i>confidence interval</i> – przedział ufności   |
| CPRD   | ang. <i>Clinical Practice Research Datalink</i> - Baza Danych Badań Praktyki Klinicznej   |
| DDD    | ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku  |
| EAN    | ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy   |
| GLI    | bromek glikopironium  |
| HR     | ang. <i>hazard ratio</i> – współczynnik hazardu   |
| HTA    | ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych   |
| 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   |
| NFZ    | Narodowy Fundusz Zdrowia  |
| NICE   | ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i> – Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych  |
| PKB    | produkt krajowy brutto  |
| PLC    | placebo   |
| PLN    | polski złoty  |
| PRISMA | ang. <i>Preferred Reporting Items of Systematic reviews and Meta-Analyses</i> – preferowany sposób raportowania wyników przeglądów systematycznych i metaanaliz |
| R&D    | ang. <i>research and development</i> – badanie i rozwój   |
| 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 leku Sialanar® (bromek glikopironium, GLI) stosowanego w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym.

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 stanowią dzieci i młodzież, w wieku od 3 lat, z ciężką postacią ślinotoku powiązaną z mózgowym porażeniem dziecięcym. Dotychczas chorzy nie mieli dostępu do leczenia farmakologicznego ślinotoku. Stosowanie bromku glikopironium ma na celu redukcję ślinotoku, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: *Stanowiska ekspertów klinicznych, danych GUS 2021, NFZ Łódź 2016* oraz publikacji *Tahmassebi 2003* i *Reid 2012*.

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika.

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której bromek glikopironium nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym nie jest stosowane żadne leczenie. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której bromek glikopironium stosowany w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym, będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy

---

rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w aptece na receptę

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

## WYNIKI

### Oszacowanie populacji

| [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] |

\*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych bromku glikopironium nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego.

## Wyniki 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]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

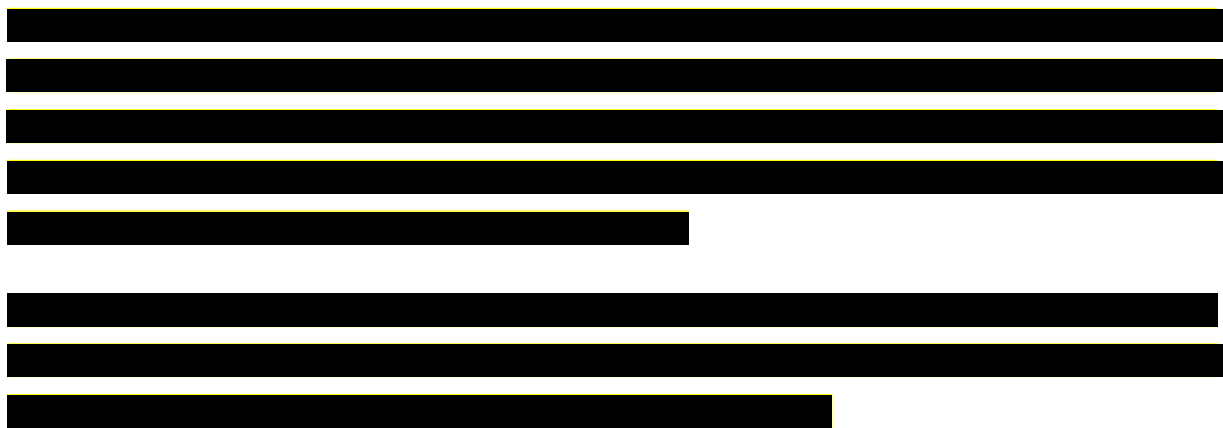
## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu bromku glikopirionium (Sialanar®) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w aptece na receptę.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia ciężkiego ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym. Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w pierwszym roku refundacji

<sup>1</sup> W nawiasach podano zmianę procentową wyniku inkrementalnego analizy w 1 roku / 2 roku względem analizy podstawowej dla wariantu prawdopodobnego





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

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Sialanar® przyczyni się do znaczącej poprawy sytuacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, z ciężką postacią ślinotoku w Polsce.

---

## 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 leku Sialanar® (bromek glikopironium, GLI) stosowanego w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Sialanar® w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel, 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. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego. Liczebność populacji docelowej uwzględnionej w analizie podstawowej oszacowano na podstawie *Stanowiska ekspertów klinicznych, danych GUS 2021, NFZ Łódź 2016* oraz publikacji *Tahmassebi 2003* i *Reid 2012*.
  3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
  4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz terapii komparatorem (brak leczenia).
  5. 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.

6. 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.
7. 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.
8. 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).
9. 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 listopada 2023. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest brak alternatywnej technologii refundowanej w rozważanym wskazaniu, w związku z czym lek Sialanar® powinien szybko osiągnąć zakładany udział w rynku [REDACTED]

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:

- z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny<sup>2</sup>);
- 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 objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w aptece na receptę i [REDACTED]

[REDACTED] (rozdział 8.1.).

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.

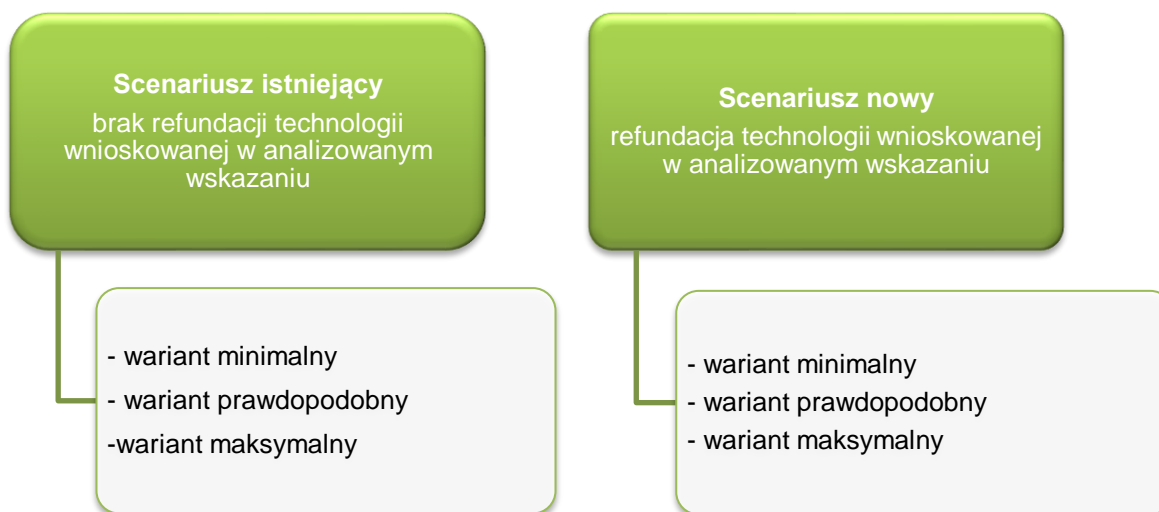
Analizowane scenariusze (istniejący, nowy) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

---

<sup>2</sup> Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

---

**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 system ochrony zdrowia stanowią chorzy, u których oceniana technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o ChPL wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL Sialanar®*, bromek glikopironium wskazany jest w leczeniu objawowym ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi.

Zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* lek *Sialanar®* nie jest refundowany w Polsce.

W celu oszacowania polskiej populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana, poszukiwano polskich, europejskich i międzynarodowych danych epidemiologicznych i klinicznych dotyczących częstości ciężkiej postaci ślinotoku powiązanej z przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi wśród dzieci i młodzieży.

#### **ODSETEK DZIECI Z ZABURZENIAMI NEUROLOGICZNYMI**

Epidemiologiczne rozpowszechnienie zaburzeń neurologicznych wśród dzieci zmierzono między innymi w badaniu opisanym w publikacji *Zablotsky 2020* [Zablotsky 2020]. W badaniu, prowadzonym na przestrzeni 8 lat, wzięło udział około 88 tys. dzieci z USA w wieku od 3 do 17 lat. Przeszkoleni ankieterzy amerykańskiego biura spisu ludności (ang. *Census Bureau*) ankietowali badanych oraz rodziców badanych za pomocą ogólnokrajowej reprezentatywnej ankiety niezinstytucjonalizowanej ludności cywilnej. Oszacowano, że ogólna częstość występowania dowolnej niepełnosprawności rozwojowej wśród dzieci wyniosła 16,93%. Jednakże autorzy badania podkreślają, że ponieważ ankietowani rodzice zgłaszali diagnozę dotyczącą całego życia dziecka, prawdopodobnie niektóre dzieci objęte obecną analizą nie mają już możliwości do zdiagnozowania niepełnosprawności rozwojowej, co może świadczyć o tym, że uwzględnione odsetki są zawyżone względem sytuacji obecnej. Odsetki występowania wybranych zaburzeń neurologicznych, podane w publikacji *Zablotsky 2020*, przedstawiono poniżej.

**Tabela 1.**  
**Częstości występowania wybranych zaburzeń neurologicznych podane w publikacji *Zablotsky 2020***

| Zaburzenie neurologiczne       | Częstość w populacji ogólnej dzieci w wieku 3 - 17 lat |
|--------------------------------|--|
| Mózgowe porażenie dziecięce    | 0,31%  |
| Zaburzenia ze spektrum autyzmu | 1,74%  |
| Upośledzenie intelektualne     | 1,10%  |
| Inne opóźnienia rozwojowe      | 4,38%  |

Badanie EUROCAT dotyczyło analizy rozpowszechnienia 105 podgrup wad wrodzonych oraz porównania wyników w różnych grupach populacji lub obszarach geograficznych. Do podgrup zaliczono tylko przypadki z poważnymi wadami wrodzonymi, zdefiniowanymi jako zmiany strukturalne, które mają istotne konsekwencje medyczne, społeczne lub kosmetyczne dla chorej osoby, natomiast przypadki z niewielkimi anomaliami zostały wykluczone. W przypadku występowania zespołu Downa / trisomia 21 uzyskano wynik 9,89 (od 9,62 do 10,16) na 10 000 żywych urodzeń. Na podstawie dokumentacji Polskiego Rejestru Wrodzonych Wad Rozwojowych oszacowano natomiast, że w Polsce w latach 2005-2006 zespół Downa występował średnio u 11,8 (od 10,5 do 13,0) dzieci na 10 000 żywych urodzeń [Latos-Bielińska 2010].

Wśród odnalezionych badań epidemiologicznych dotyczących autyzmu w populacji ogólnej (*Rybakowski 2014, Lyall 2019, Baxter 2015*) uzyskane odsetki różnią się między sobą i są

mniejsze, niż częstość podana w *Zablotsky 2020* (1,74%, w populacji dzieci 3-17 lat), co może świadczyć o różnej częstości występowania autyzmu na przestrzeni różnych grup wiekowych. Średnia częstość występowania szerokiego spektrum autyzmu wynosi 62/10 000 (0,62%) [Rybakowski 2014]. Obecne rozpowszechnienie zaburzeń spektrum autyzmu w populacji ogólnej szacuje się na 1,5% w krajach rozwiniętych na całym świecie [Lyll 2019]. W 2010 roku na całym świecie odnotowano około 52 milionów przypadków szerokiego spektrum autyzmu, co odpowiada częstości występowania 7,6 na 1 000 osób w populacji ogólnej (0,76%) [Baxter 2015].

### **ODSETEK ŚLINOTOKU WŚRÓD CHORYCH Z ZABURZENIAMI NEUROLOGICZNYMI**

Częstość występowania przewlekłego patologicznego wydzielania śliny w dzieciństwie szacuje się na 0,6% [Fairhurst 2011]. Zaburzenie to najczęściej występuje u dzieci z porażeniem mózgowym, w przypadku których współczynnik występowania ciężkiej postaci ślinotoku wynosi od 15% do 33% [Reid 2012; Tahmassebi 2003]. W publikacji *Riva 2022* przedstawiono natomiast, że częstość występowania przewlekłego ślinotoku wynosi około 0,5% w populacji pediatrycznej, a liczba ta wzrasta do 60% u dzieci dotkniętych zaburzeniami neurologicznymi, takimi jak porażenie mózgowe, zespół Draveta, zespół Retta, zespół Goldenhara lub zespół Angelmana.

Wyniki metaanalizy, uwzględniającej 42. publikacje dotyczące epidemiologii ślinotoku wśród dzieci z porażeniem mózgowym, opisaną w publikacji *Speyer 2019* wskazują natomiast na to, że ślinotok występuje u 44,0% (95% CI: 35,6% - 52,7%) osób z porażeniem mózgowym.

Badanie opisane w publikacji *Reid 2012* dotyczące chorych w wieku od 8 do 14 lat z porażeniem mózgowym wskazuje na to, że wśród chorych ze współistniejącym upośledzeniem intelektualnym (n=166) u 91 badanych (54,8%) występował ślinotok. W przypadku wszystkich chorych z porażeniem mózgowym biorących udział w tym badaniu (n=385) ślinotok dotyczył 156 chorych (40,5%), natomiast ciężka postać ślinotoku dotyczyła 15% chorych.

### **ODSETEK CIĘŻKIEGO I OBFITEGO ŚLINOTOKU POWIĄZANEGO Z ZABURZENIAMI NEUROLOGICZNYMI WŚRÓD DZIECI**

Ze względu na niewielką liczbę aktualnych danych dotyczących Polski i duże rozbieżności między badaniami, dotyczące przewlekłych zaburzeń neurologicznych wśród dzieci i młodzieży oraz odsetków ciężkiego ślinotoku wśród dzieci i młodzieży z przewlekłymi

zaburzeniami neurologicznymi, w celu określenia wielkości populacji dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z ciężkim ślinotokiem i przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi w Polsce, w analizie podstawowej wykorzystano *Stanowisko ekspertów klinicznych*. W poniższej tabeli przedstawiono dane zaprezentowane w *Stanowisku ekspertów klinicznych* oraz wykorzystane w analizie podstawowej wartości.

**Tabela 2.**  
**Stanowisko ekspertów klinicznych dotyczące oszacowania liczby chorych z ciężkim i obitym ślinotokiem powiązanych z zaburzeniami neurologicznymi**

| [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] |

3 [REDACTED]

4 [REDACTED]

5 [REDACTED]

6 [REDACTED]

7 [REDACTED]

8 [REDACTED]



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

\*od 3. do 17. roku życia włącznie

\*\*potencjalnie kwalifikujących do leczenia bromkiem glikopironium

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

<sup>9</sup> Odsetek chorych w populacji dzieci w wieku 3-17 lat [Zablotsky 2020]



|            |            |            |            |            |            |            |
|------------|------------|------------|------------|------------|------------|------------|
| [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]

### 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Populację docelową dla technologii wnioskowanej, zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią dzieci i młodzież w wieku od 3 lat, z ciężką postacią ślinotoku, z mózgowym porażeniem dziecięcym.

Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie jest zawężeniem populacji wskazanej w *ChPL Sialanar®*, czyli populacji, w której technologia wnioskowana może być stosowana. Estymowaną liczebność populacji docelowej (na podstawie rozdziału 2.5.1.) przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 4.**  
**Populacja docelowa uwzględniona w horyzoncie czasowym analizy wpływu na system ochrony zdrowia**

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

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

Obecnie bromek glikopironium nie jest stosowany w Polsce.

### 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 lek Sialanar® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

#### 2.5.4.1. Udziały w rynku

W celu oszacowania udziałów w rynku leku Sialanar® w 1. i 2. roku analizy, wśród ekspertów klinicznych przeprowadzono badanie ankietowe, którego wyniki przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 5.**  
**Odsetek chorych, wśród wszystkich chorych kwalifikujących się do leczenia lekiem zawierającym bromek glikopironium (ciężka postać ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi<sup>10</sup>) jaki rozpocznie nim leczenie w przypadku jego refundacji**



|  |  |  |
|--|--|--|
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |

<sup>10</sup> Przyjęto, iż wskazany odsetek chorych dotyczy również chorych, którzy złączą stosować wnioskowaną technologię wśród chorych z ciężką postacią ślinotoku, z zaburzeniem neurologicznym - mózgowym porażeniem dziecięcym

<sup>11</sup> chorych, którzy osiągną w 2. roku refundacji wiek trzech lat (około 6,50% populacji docelowej 1. roku)

---

**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 6.**  
**Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją**

Wielkość dostaw bromku glikopironium (Sialanar®), konieczną do zastosowania terapii w oszacowanej populacji chorych, przedstawiono w załączniku (rozdział 8.3.).

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

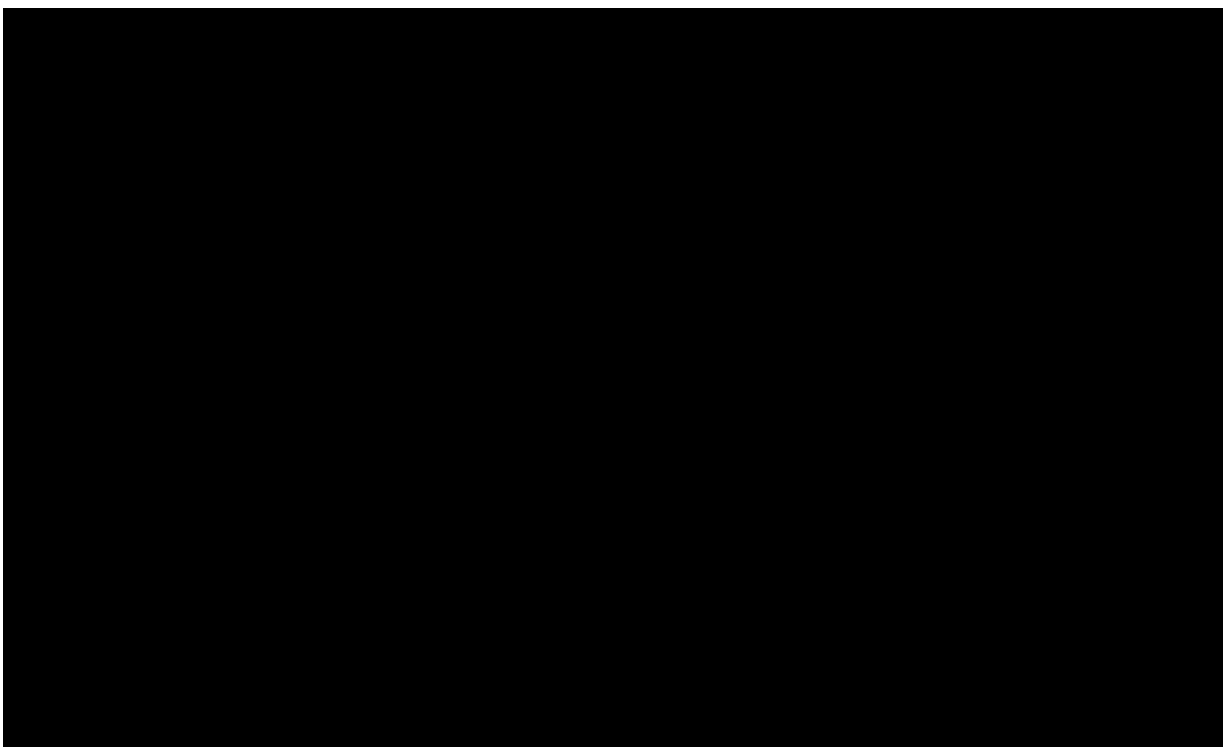
W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji bromku glikopironium, lek ten nie będzie stosowany.

**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 7.**  
**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 perspektywy wspólnej uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- koszty leków;
- koszty przepisania i podania leków;
- koszty monitorowania
- koszty leczenia zdarzeń niepożądanych.

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich: koszty leczenia zaburzeń neurologicznych (mózgowego porażenia dziecięcego) 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 8.**  
**Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne**

| Kategoria kosztowa   | Uzasadnienie kwalifikacji  |
|--|--|
| Koszty leczenia zaburzeń neurologicznych – mózgowego porażenie dziecięcego | Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości |

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 poszczególnych prezentacji leków.

#### 2.6.1.1. Dawkowanie

##### **BROMEK GLIKOPIRONIUM**

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Sialanar®* określono, że w leczeniu objawowym ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi bromek glikopironium podawany jest w dawce zależnej od masy ciała chorego. Dawka powinna być zwiększana co 7 dni o 1 poziom, zgodnie z poniższą tabelą, aż do osiągnięcia maksymalnej indywidualnej dawki (poziom 5) po 4 tygodniach terapii lub później. W procesie ustalania dawki należy brać pod uwagę zrównoważenie stosunku skuteczności produktu do działań niepożądanych.

**Tabela 9.**  
**Dawkowanie bromku glikopirionium, w zależności od masy ciała i poziomu dawkowania, podane w ChPL Sialanar®**

| Masa ciała chorych (kg) |    | Dawka (ml leku*; 3 razy na dobę) |          |          |          |          |
|-------------------------|----|----------------------------------|----------|----------|----------|----------|
| Od                      | Do | poziom 1                         | poziom 2 | poziom 3 | poziom 4 | poziom 5 |
| 13                      | 17 | 0,6                              | 1,2      | 1,8      | 2,4      | 3        |
| 18                      | 22 | 0,8                              | 1,6      | 2,4      | 3,2      | 4        |
| 23                      | 27 | 1                                | 2        | 3        | 4        | 5        |
| 28                      | 32 | 1,2                              | 2,4      | 3,6      | 4,8      | 6        |
| 33                      | 37 | 1,4                              | 2,8      | 4,2      | 5,6      | 6        |
| 38                      | 42 | 1,6                              | 3,2      | 4,8      | 6        | 6        |
| 43                      | 47 | 1,8                              | 3,6      | 5,4      | 6        | 6        |
| 48                      |    | 1,4                              | 2,8      | 4,2      | 5,6      | 6        |

\*Każdy ml roztworu zawiera 0,4 mg bromku glikopirionium, co odpowiada 0,32 mg glikopirionium (GLI)

Na podstawie zaleceń WHO [WHOCC] przyjęto, że DDD bromku glikopirionium wynosi 3 mg (co odpowiada przyjmowaniu leku 3 razy dziennie w pojedynczej dawce 2,5 ml).

Na podstawie średniej masy ciała chłopców i dziewczynek w danym wieku, ważonej przyjętym rozkładem płci (*Analiza ekonomiczna*), dzieciom w odpowiednim wieku przypisano odpowiedni schemat dawkowania. Schematy te przedstawiono w poniższej tabeli. Pogrubioną czcionką zaznaczono schemat dotyczący chorych w wieku wyjściowym (analiza podstawowa).

**Tabela 10.**  
**Dawkowanie bromku glikopirionium, w zależności od wieku i poziomu dawkowania, uwzględnione w analizie podstawowej**

| Wiek | Średnia masa ciała chorych (kg) | Dawka (ml leku*; 3 razy na dobę) |            |            |            |          |
|------|---------------------------------|----------------------------------|------------|------------|------------|----------|
|      |                                 | poziom 1                         | poziom 2   | poziom 3   | poziom 4   | poziom 5 |
| 3    | 16,31                           | 0,6                              | 1,2        | 1,8        | 2,4        | 3        |
| 4    | 18,09                           | 0,8                              | 1,6        | 2,4        | 3,2        | 4        |
| 5    | 20,28                           | 0,8                              | 1,6        | 2,4        | 3,2        | 4        |
| 6    | 23,44                           | 1                                | 2          | 3          | 4          | 5        |
| 7    | 26,73                           | 1                                | 2          | 3          | 4          | 5        |
| 8    | 29,98                           | 1,2                              | 2,4        | 3,6        | 4,8        | 6        |
| 9    | 32,89                           | 1,2                              | 2,4        | 3,6        | 4,8        | 6        |
| 10   | <b>36,76</b>                    | <b>1,4</b>                       | <b>2,8</b> | <b>4,2</b> | <b>5,6</b> | <b>6</b> |
| 11   | 41,98                           | 1,6                              | 3,2        | 4,8        | 6          | 6        |
| 12   | 45,99                           | 1,8                              | 3,6        | 5,4        | 6          | 6        |



| Wiek | Średnia masa ciała chorych (kg) | Dawka (ml leku*; 3 razy na dobę) |          |          |          |          |
|------|---------------------------------|----------------------------------|----------|----------|----------|----------|
|      |                                 | poziom 1                         | poziom 2 | poziom 3 | poziom 4 | poziom 5 |
| 13   | 52,52                           | 2                                | 4        | 6        | 6        | 6        |
| 14   | 55,37                           | 2                                | 4        | 6        | 6        | 6        |

\*Każdy ml roztworu zawiera 0,4 mg bromku glikopirionium, co odpowiada 0,32 mg glikopirionium (GLI)

W analizie wrażliwości testowano schemat dawkowania, w którym przyjęto równomierny rozkład chorych w wieku od 3 do 17 lat. W tabeli poniżej zestawiono uwzględnione średnie dawkowanie GLI (niezależne od wieku wejściowego chorych do modelu).

Tabela 11.

**Dawkowanie bromku glikopirionium, w zależności od wieku i poziomu dawkowania, uwzględnione w analizie wrażliwości**

| Wiek           | Średnia masa ciała chorych (kg) | Dawka (ml leku*; 3 razy na dobę) |             |             |             |             |
|----------------|---------------------------------|----------------------------------|-------------|-------------|-------------|-------------|
|                |                                 | poziom 1                         | poziom 2    | poziom 3    | poziom 4    | poziom 5    |
| 3              | 16,31                           | 0,6                              | 1,2         | 1,8         | 2,4         | 3           |
| 4              | 18,09                           | 0,8                              | 1,6         | 2,4         | 3,2         | 4           |
| 5              | 20,28                           | 0,8                              | 1,6         | 2,4         | 3,2         | 4           |
| 6              | 23,44                           | 1                                | 2           | 3           | 4           | 5           |
| 7              | 26,73                           | 1                                | 2           | 3           | 4           | 5           |
| 8              | 29,98                           | 1,2                              | 2,4         | 3,6         | 4,8         | 6           |
| 9              | 32,89                           | 1,2                              | 2,4         | 3,6         | 4,8         | 6           |
| 10             | 36,76                           | 1,4                              | 2,8         | 4,2         | 5,6         | 6           |
| 11             | 41,98                           | 1,6                              | 3,2         | 4,8         | 6           | 6           |
| 12             | 45,99                           | 1,8                              | 3,6         | 5,4         | 6           | 6           |
| 13             | 52,52                           | 2                                | 4           | 6           | 6           | 6           |
| 14             | 55,37                           | 2                                | 4           | 6           | 6           | 6           |
| 15             | 55,37>=                         | 2                                | 4           | 6           | 6           | 6           |
| 16             | 55,37>=                         | 2                                | 4           | 6           | 6           | 6           |
| 17             | 55,37>=                         | 2                                | 4           | 6           | 6           | 6           |
| <b>średnia</b> | n/d                             | <b>1,43</b>                      | <b>2,85</b> | <b>4,28</b> | <b>4,93</b> | <b>5,40</b> |

\*Każdy ml roztworu zawiera 0,4 mg bromku glikopirionium, co odpowiada 0,32 mg glikopirionium (GLI)

[Redacted text block]

[Redacted text block] (Tabela 11.), [Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

### 2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

Obecnie lek nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w aptece na receptę i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową.

[Redacted content]

8.1.

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 12.).

**Tabela 12.**  
**Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)**

[Redacted table content]

Na podstawie wskazanego dawkowania (dla poziomu 5) oraz cen leków wyznaczono koszt leków w przeliczeniu na opakowanie oraz na cykl. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

**Tabela 13.**  
**Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)**

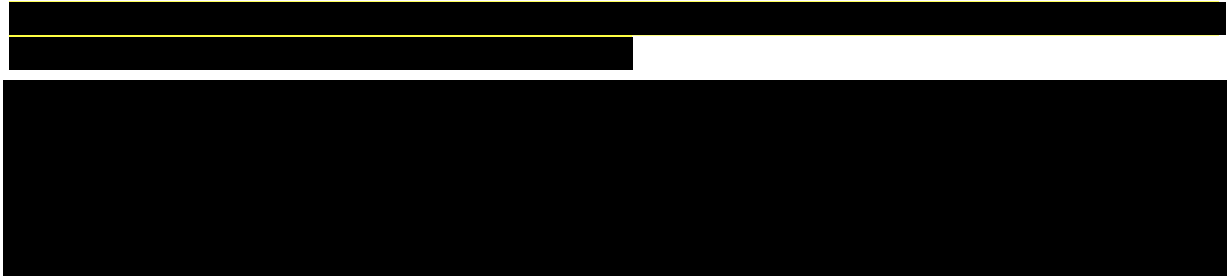
[Redacted table content]

### 2.6.2. Modelowanie kosztów

[Redacted content]

[Redacted content] W tabeli poniżej zestawiono oszacowane koszty roczne uwzględnione w wariantcie podstawowym analizy wpływu na budżet.

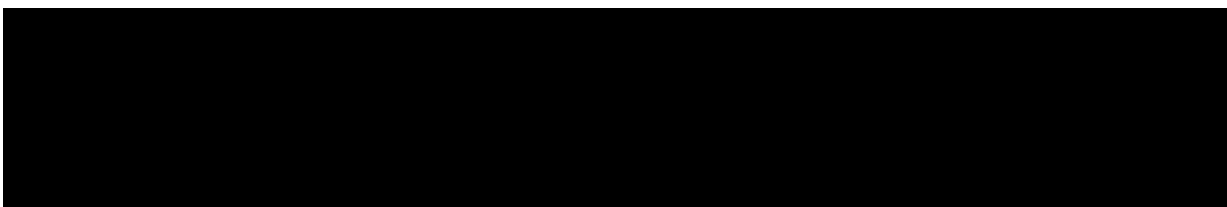
**Tabela 14.**



W analizie przeprowadzono również oszacowania BIA w dodatkowym wariantcie analizy wrażliwości, który opiera się na modelowaniu przeprowadzonym w ramach *Analizy ekonomicznej* z uwzględnieniem 2-letniego horyzontu analizy wpływu na budżet. Ze względu na ograniczenia modelowania przyjętego w analizie ekonomicznej (wynikające m.in. z tego, że dostępne badania kliniczne przeprowadzone były w krótkim horyzoncie czasowym oraz, zgodnie z *ChPL Sialanar®*, lek zalecany jest do krótkookresowego stosowania) uznano, że zastosowanie 2-letniego horyzontu czasowego, w celu uzyskania kosztów leczenia w *Analizie ekonomicznej*, może być niedostatecznie wiarygodne. Zgodnie z powyższym w zaprezentowanym wariantcie analizy wrażliwości BIA oszacowano koszty w horyzoncie 52-tygodniowym na podstawie *Analizy ekonomicznej*, a następnie założono, że są one średnimi rocznymi kosztami leczenia. Koszty te przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 15.**

**Średnie koszty roczne oszacowane na podstawie modelowania *Analizy ekonomicznej*, wykorzystane w dodatkowym wariantcie analizy wrażliwości**



### **2.6.3. Podsumowanie kosztów**

W poniższych tabelach przedstawiono podsumowanie średnich kosztów rocznych, które następnie krótko omówiono.

Średnie koszty roczne (1 i 2 roku terapii) ponoszone w przypadku chorego stosującego GLI w zależności od roku rozpoczęcia leczenia przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 16.**

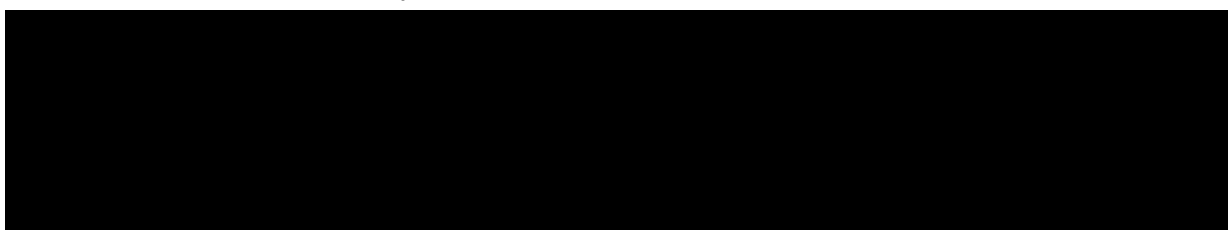
**Koszty ponoszone w terapii bromkiem glikopironium w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**



W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone na lek Sialanar® w terapii bromkiem glikopironium u chorych.

**Tabela 17.**

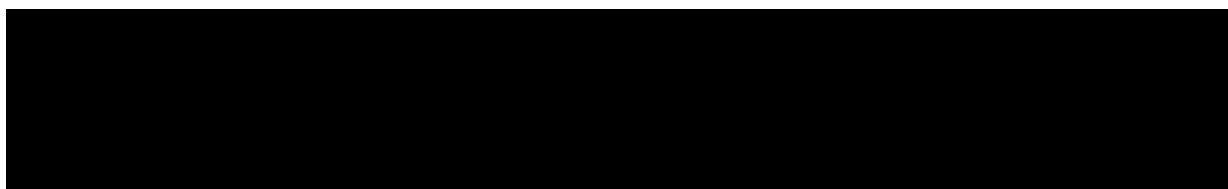
**Koszty ponoszone na lek Sialanar® w terapii bromkiem glikopironium u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**



W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone w przypadku leczenia komparatorem (w przypadku braku leczenia) u chorych w populacji docelowej.

**Tabela 18.**

**Koszty ponoszone w przypadku leczenia komparatorem w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**

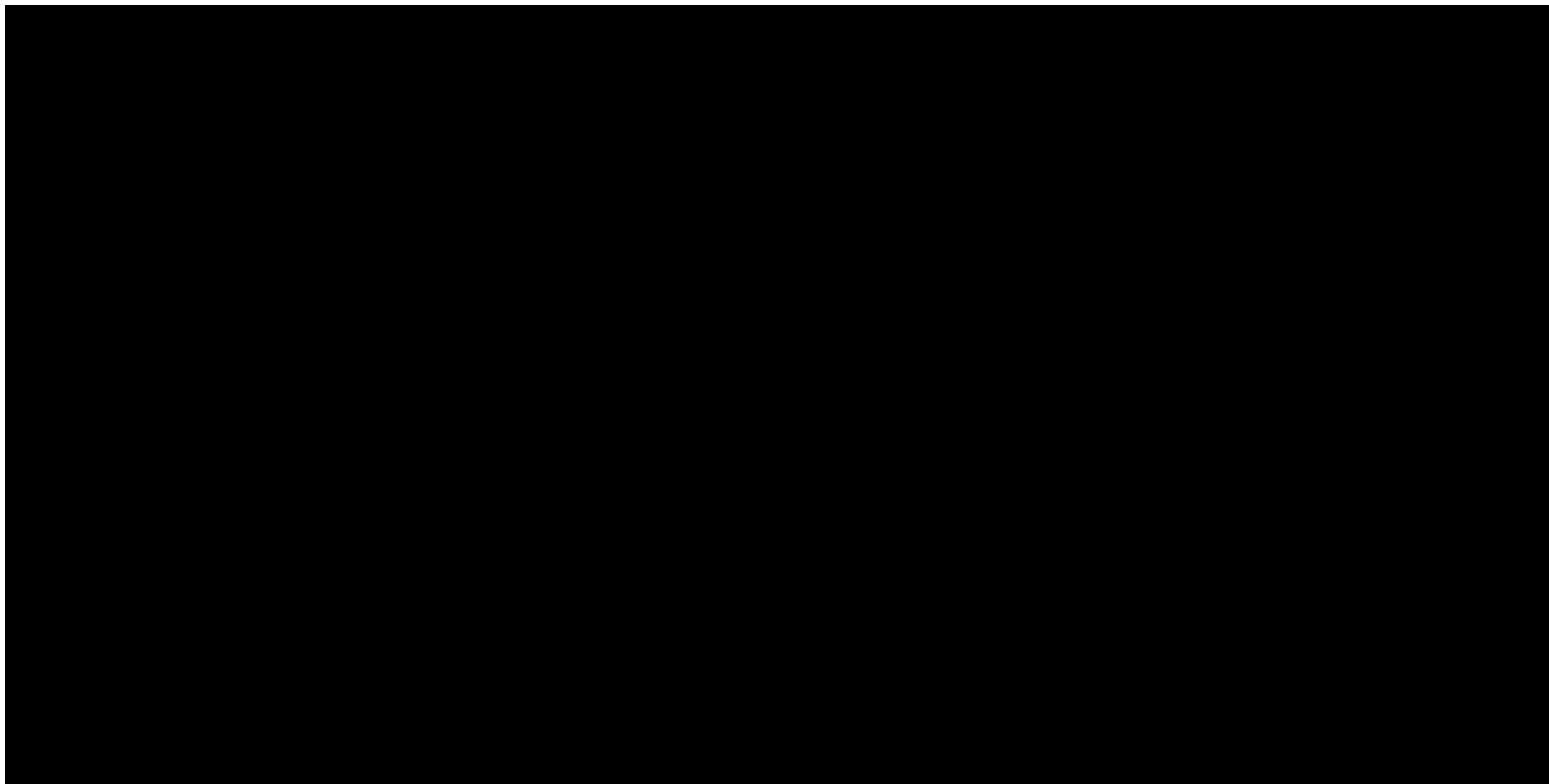


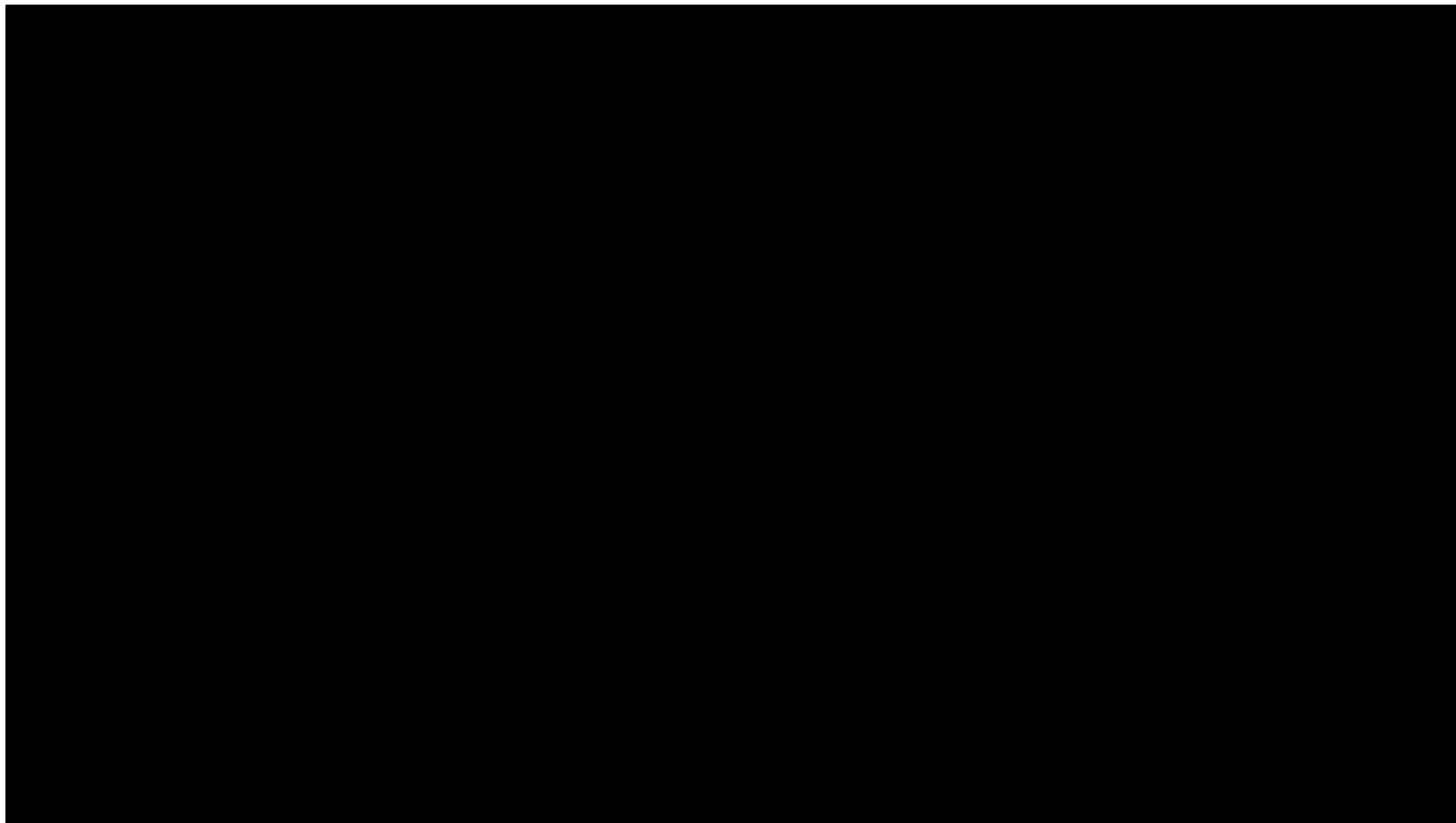
---

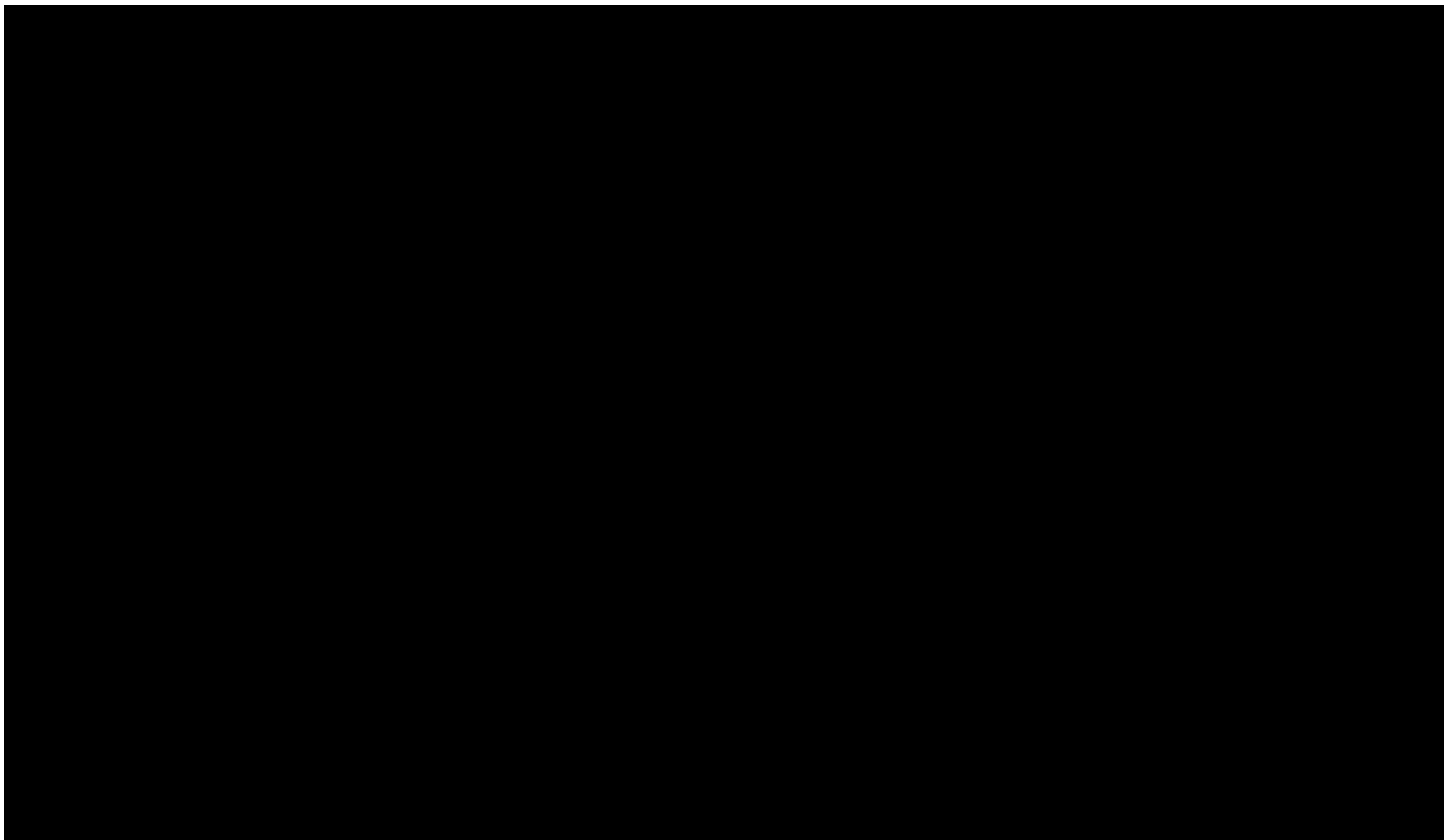
## 2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

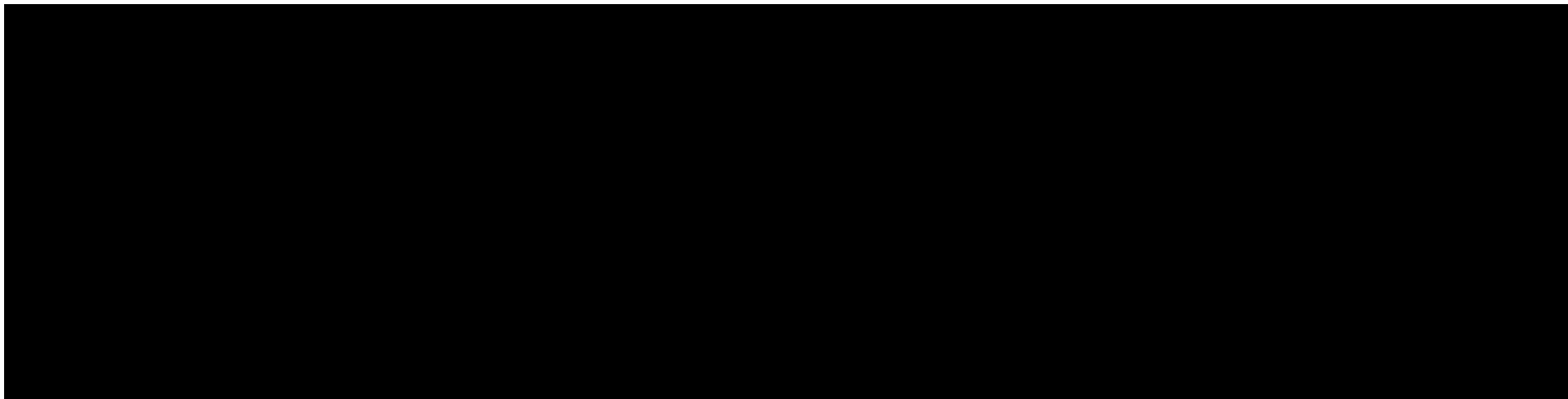
**Tabela 19.**  
**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

The content of the table is completely redacted with a solid black rectangle, making it illegible.









---

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenie jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego oraz 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 2023 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. [REDACTED]

Obecnie bromek glikopironium nie jest stosowany w analizowanej populacji chorych. Koszt leku jest zatem zerowy.

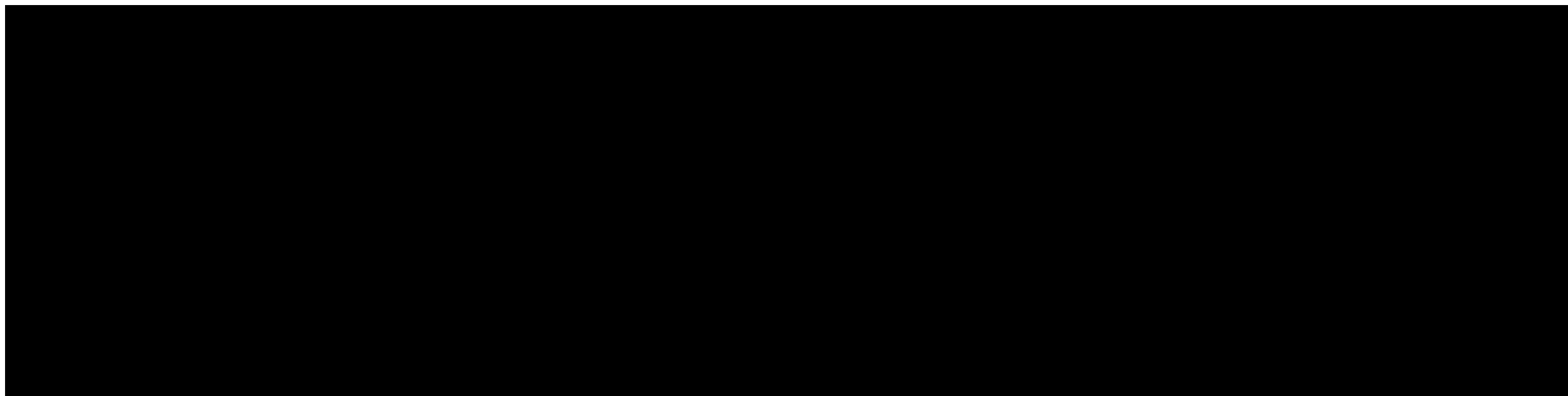
### 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej. Dodatkowo wyniki przedstawiono w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

---

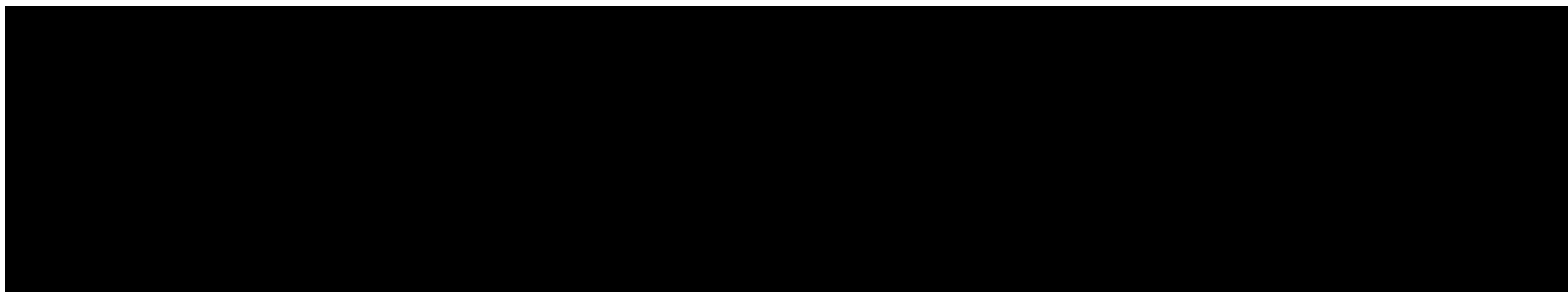
---

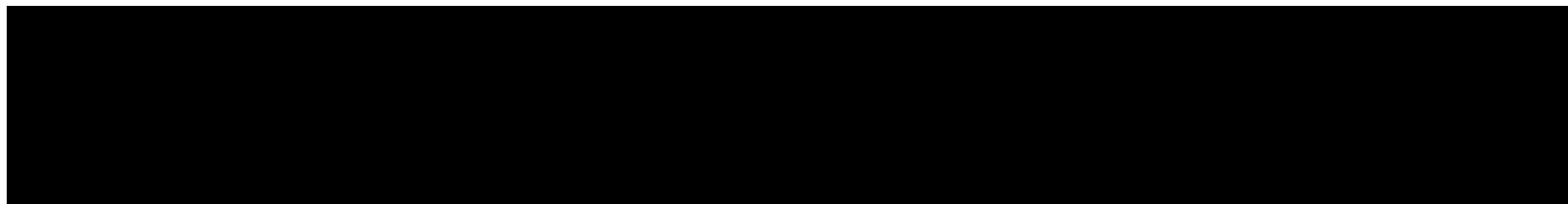
**Tabela 20.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego**

The content of Table 20 is completely redacted with a solid black rectangle.

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

**Tabela 21.**  
**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej**

The content of Table 21 is completely redacted with a solid black rectangle.

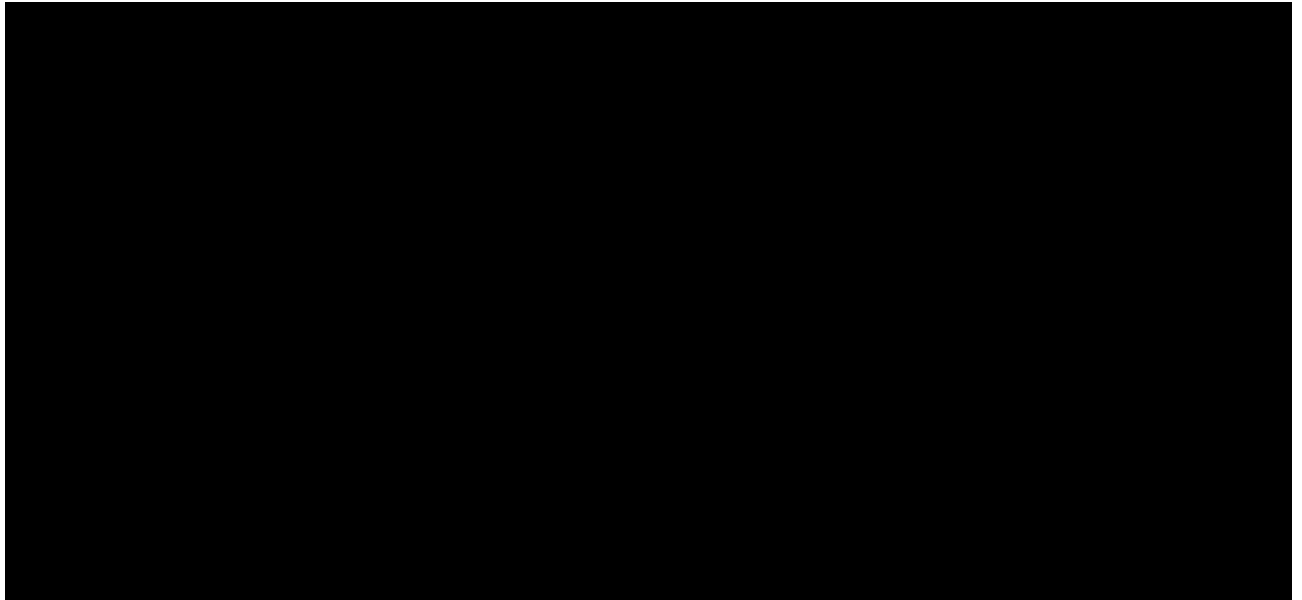


\* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

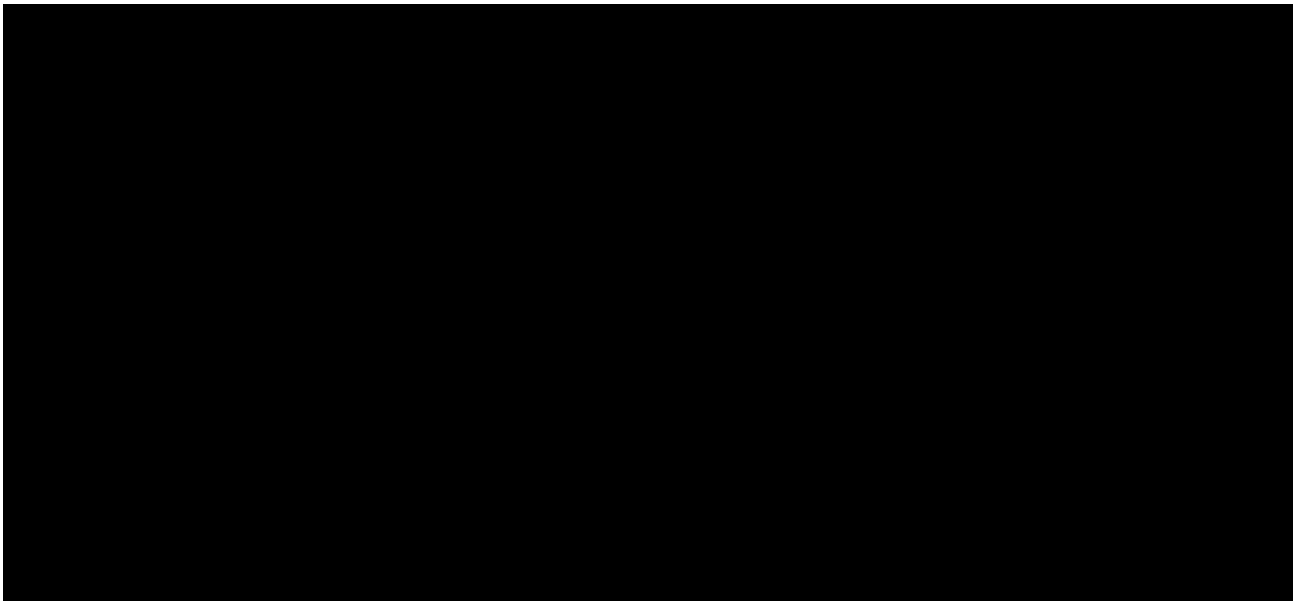
---

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

**Rysunek 2.**



**Rysunek 3.**



---

### 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.

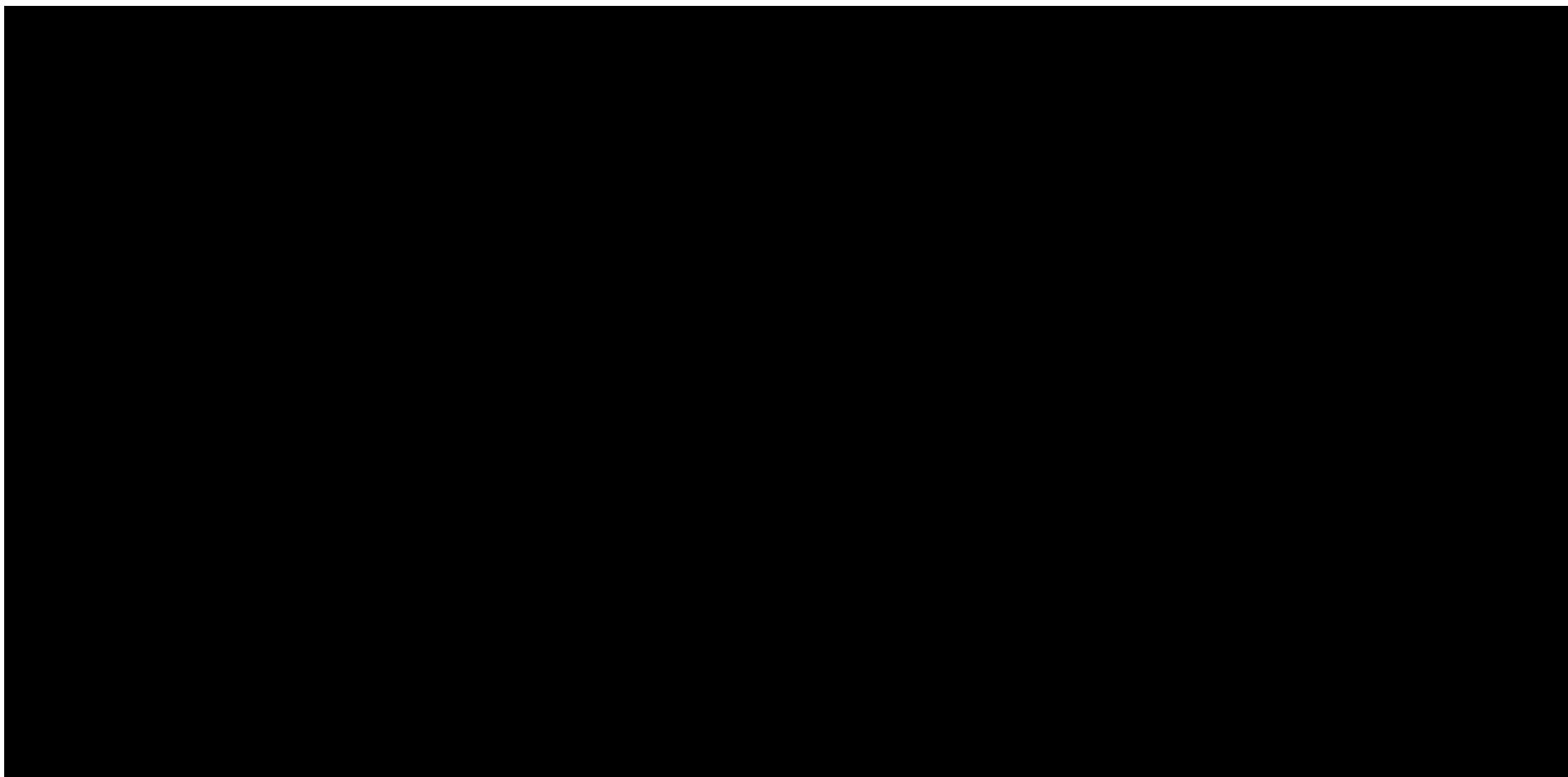
Testowane parametry i ich zakres oraz scenariusze alternatywne przedstawiono w Rozdziale 2.7.

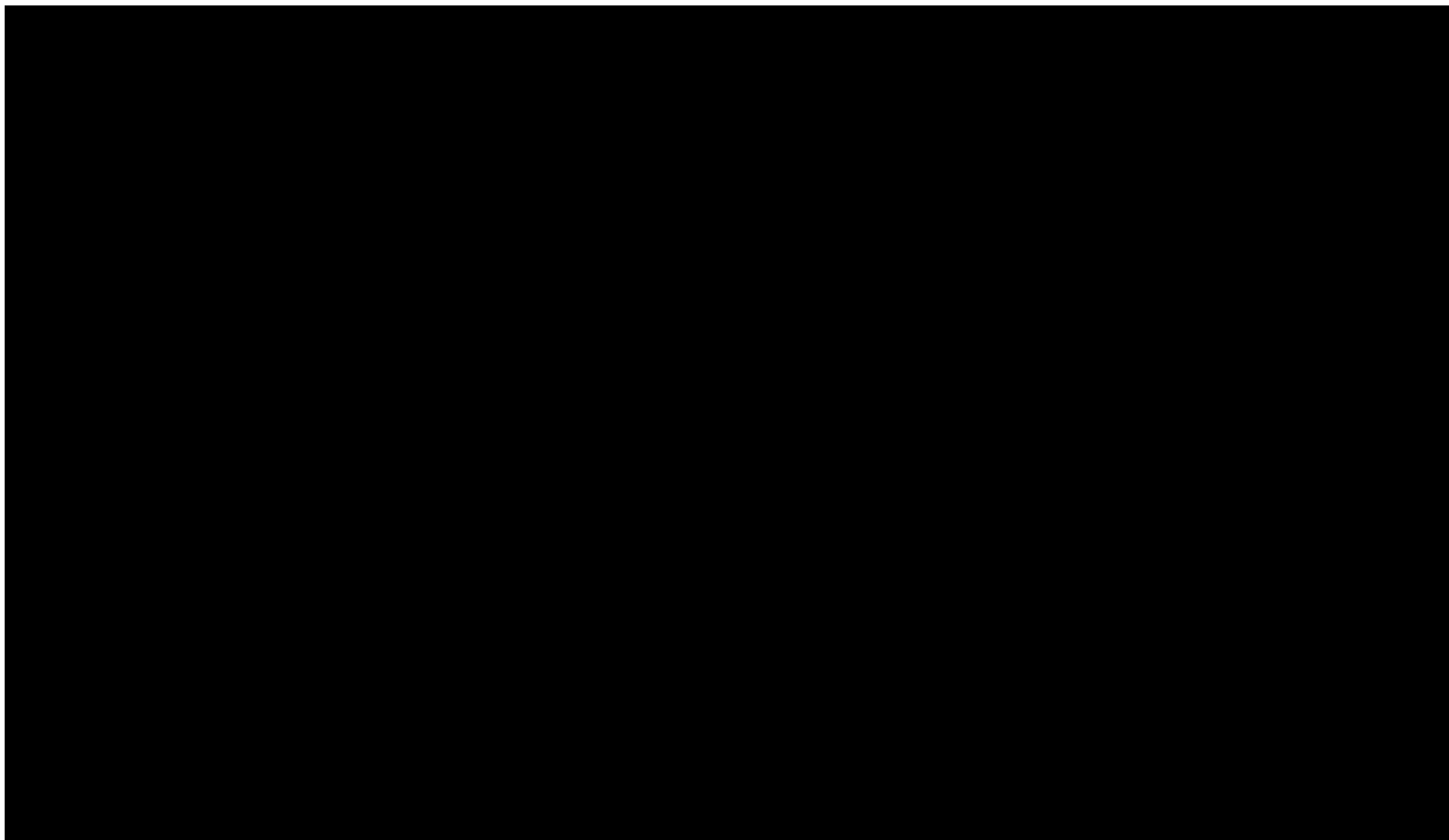
Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli.



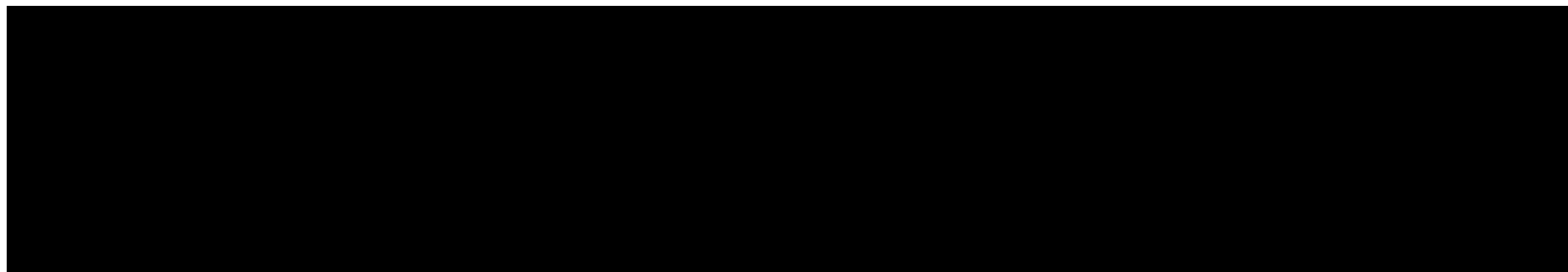
**Tabela 22.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego**

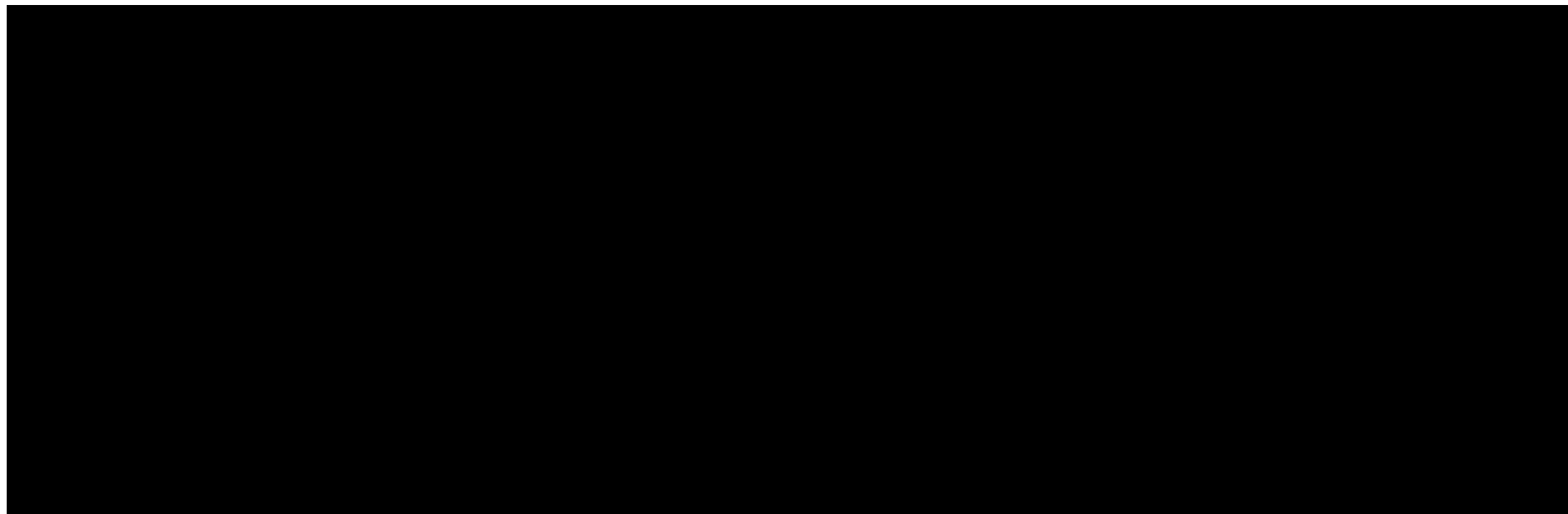
The content of the table is completely redacted with a solid black rectangle.

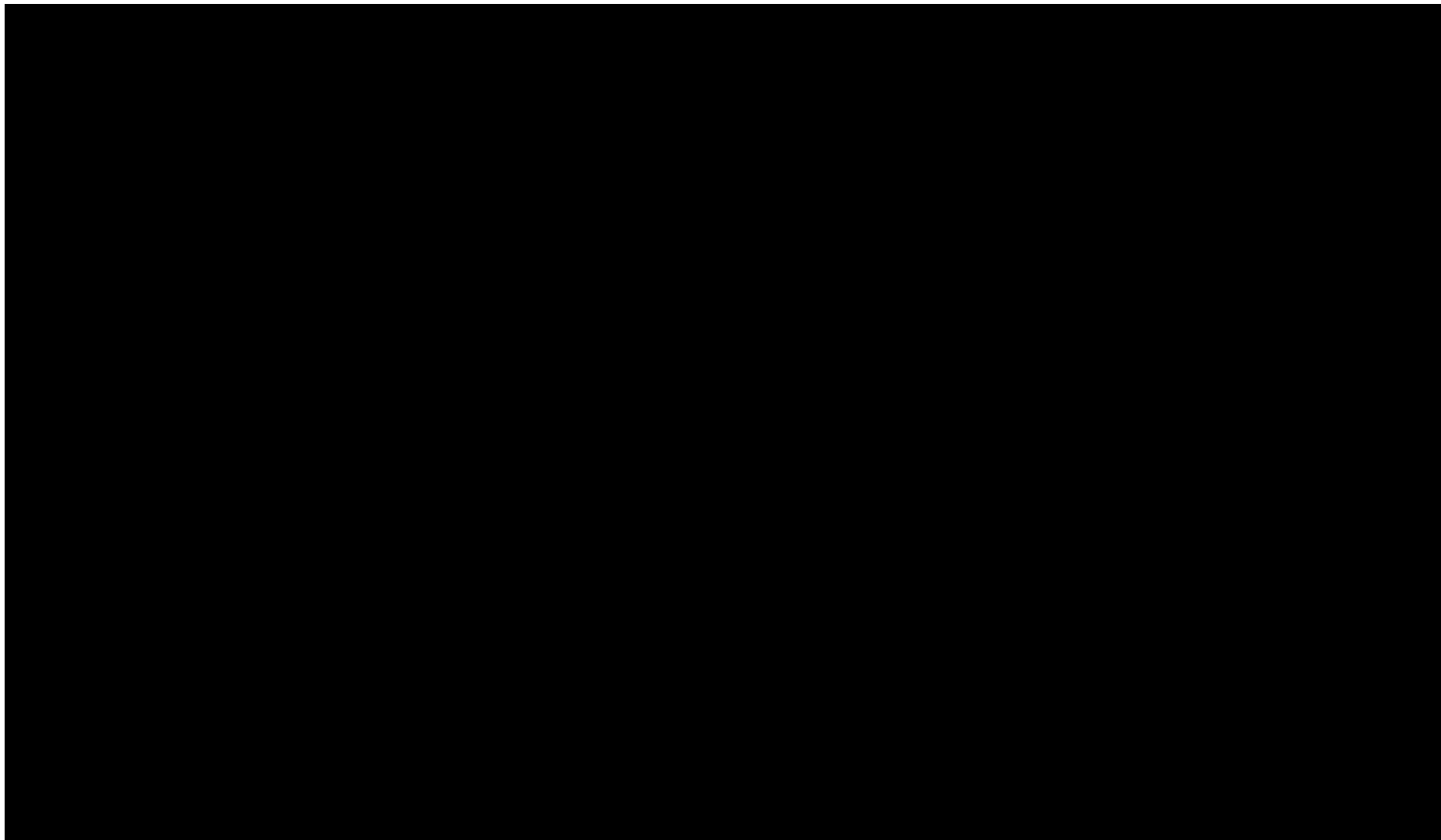


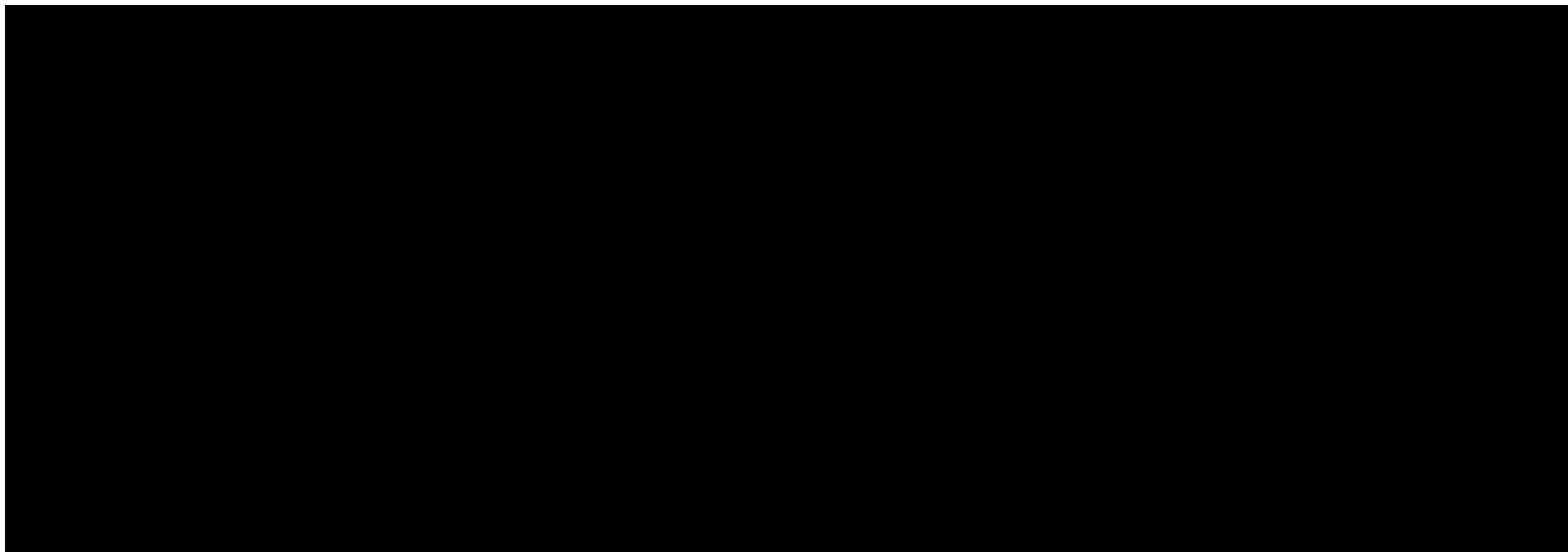




**Tabela 23.**  
**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej**







---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Sialanar® (bromek glikopironium) w leczeniu objawowym ciężkiej postaci ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z mózgowym porażeniem dziecięcym, 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 leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Przewlekłe ślinienie jest niewątpliwie jednym z głównych nieudogodnień życia codziennego dzieci i młodzieży, obciążonych zaburzeniami neurologicznymi. Ślinotok silnie wpływa na jakość życia młodych chorych, narażając ich na stygmatyzację przez rówieśników oraz w znacznym stopniu obciąża ich opiekunów. Przewlekłe ślinienie się wiąże się ponadto z ryzykiem wystąpienia wtórnych zakażeń bakteryjnych czy grzybiczych, kończąc na niebezpiecznej aspiracji śliny do płuc.

Niekontrolowany ślinotok w połączeniu z występującymi zaburzeniami neurologicznymi **powoduje znaczne obciążenie zdrowotne chorego, obejmujące zarówno aspekty fizyczne, jak i psychiczne, co w sposób bezpośredni przekłada się na obniżenie jakości życia chorych, które może się pogarszać wraz z postępem choroby.**

Brak preparatu odpowiedniego dla dzieci, dopuszczonego do leczenia ślinotoku, stanowi obecnie przeszkodę w skutecznym leczeniu tego zaburzenia.

---

W związku z tym istnieje duża niezaspokojona potrzeba, a wybór komparatora ogranicza się do braku leczenia.

---

---

Bromek glikopironium jako lek z grupy inhibitorów receptorów muskarynowych, odznaczający się korzystnym profilem bezpieczeństwa i wysoką skutecznością, stanowi odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę leczniczą w analizowanej populacji chorych. Stosowanie bromku glikopironium ma na celu redukcję ślinotoku, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Należy podkreślić, że zaburzenie to wpływa nie tylko na poszczególnych chorych, ale całe rodziny. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami społecznymi (koszty generowane przez opiekunów chorych dzieci i młodzieży). Koszty te są tym wyższe, im mniej skutecznie prowadzona jest terapia dzieci i młodzieży z ciężkim ślinotokiem. Obecnie chorzy nie mają zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia przez co koszty społeczne są eskalowane. Refundacja bromku glikopironium pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

Należy podkreślić, iż w analizie konserwatywnie nie uwzględniono kosztów w ramieniu braku leczenia (również w związku z brakiem danych dotyczących częstości generowania dodatkowych kosztów), niemniej jednak przewlekłe ślinienie się wiąże się z ryzykiem wystąpienia wtórnych zakażeń bakteryjnych czy grzybiczych, kończąc na niebezpiecznej aspiracji śliny do płuc, co może generować koszty również w ramieniu braku leczenia. Zapobieganie konieczności hospitalizacji jest w opinii opiekunów jednym z najważniejszych sposobów poprawy jakości życia zarówno chorych, jak i ich rodzin. Biorąc pod uwagę fakt, że najczęstszą przyczyną hospitalizacji u dzieci z przewlekłym wydzielaniem śliny są infekcje górnych dróg oddechowych, a kontrola wydzielania śliny zmniejsza czas trwania, ciężkość i częstość występowania takich chorób, zidentyfikowanie najbezpieczniejszych i najskuteczniejszych metod leczenia, które jednocześnie są minimalnie inwazyjne, ma pierwszorzędne znaczenie dla poprawy opieki zdrowotnej nad tą bardzo wymagającą populacją chorych [Dohar 2019].

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Sialanar® w ramach *Wykazu leków refundowanych* dotyczy wyłącznie dzieci z ciężką postacią ślinotoku, z mózgowym porażeniem dziecięcym, a zatem pacjentów spełniających wszystkie kryteria podane w *Charakterystyce Produktu Lekowego Sialanar®*, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

---

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 dotyczącą stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

**Tabela 24.**  
**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 i powszechna korzyść |
| Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia. | Tak                       |
| <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>  |                           |
| 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. Ograniczenia

Liczebność populacji docelowej oraz udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatorów w poszczególnych scenariuszach analizy określono na podstawie *Stanowiska ekspertów klinicznych, danych GUS 2021, NFZ Łódź 2016* oraz publikacji *Reid 2012 i Tahmassebi 2003* (rozdział 2.5.1.). W analizie podstawowej wykorzystano łącznie wskazania ekspertów i dane z publikacji *Reid 2012 i Tahmassebi 2003* (oraz dane GUS), gdyż są one wiarygodniejsze niż w przypadku oszacowania bazującego jedynie na danych epidemiologicznych i klinicznych. Odnalezione badania kliniczne i epidemiologiczne dotyczące występowania ślinotoku u dzieci z zaburzeniami neurologicznymi mogą być mało dokładne z powodu niewielkiej liczebności chorych w tych badaniach (zazwyczaj nieprzekraczające kilkuset badanych) oraz uzależnienia wyników od badanej populacji. Ponadto badania te nie zostały przeprowadzone wyłącznie na populacji polskich chorych z zaburzeniami neurologicznymi i potwierdzenie uwzględnionych danych *Stanowiskiem ekspertów klinicznych* wydaje się być najlepszym podejściem.

W niniejszej analizie wiek i rozkład płci przyjęto zgodnie z analizą ekonomiczną (z badań klinicznych) ze względu na to, że nie odnaleziono danych ogólnych dotyczących masy ciała dzieci w wieku powyżej 14 lat w Polsce.

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach odrębnej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. [REDACTED]

[REDACTED] Podejście takie jest zgodne z zapisami *Ustawy o refundacji*.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W związku z wykorzystaniem parametrów uwzględnionych również w szacowaniu kosztów w *Analizie ekonomicznej*, ograniczenia związane z szacowaniem tych kosztów przedstawione w powyżej analizie dotyczą również niniejszej analizy.

---

---

Na podstawie średniej masy ciała chłopców i dziewczynek w danym wieku, ważonej przyjętym rozkładem płci (*Analiza ekonomiczna*), dzieciom w odpowiednim wieku przypisano odpowiedni schemat dawkowania zgodny z Charakterystyką Produktu Leczniczego Sialanar (uwzględnione dawkowanie zależy od wieku wejściowego chorego). Należy podkreślić, iż przyjęto konserwatywnie, że chorzy zgodnie z ChPL zwiększają swoją dawkę do maksymalnej dawki (poziom 5) [ChPL Sialanar®] i pozostają na tak określonej dawce. W analizie wrażliwości testowano alternatywne warianty dawkowania (rozdział 2.6.1.1.).

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 leku Sialanar® (bromek glikopironium) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w aptece na receptę.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją dzieci i młodzież, w wieku od 3 lat z ciężką postacią ślinotoku, z mózgowym porażeniem dziecięcym.

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

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

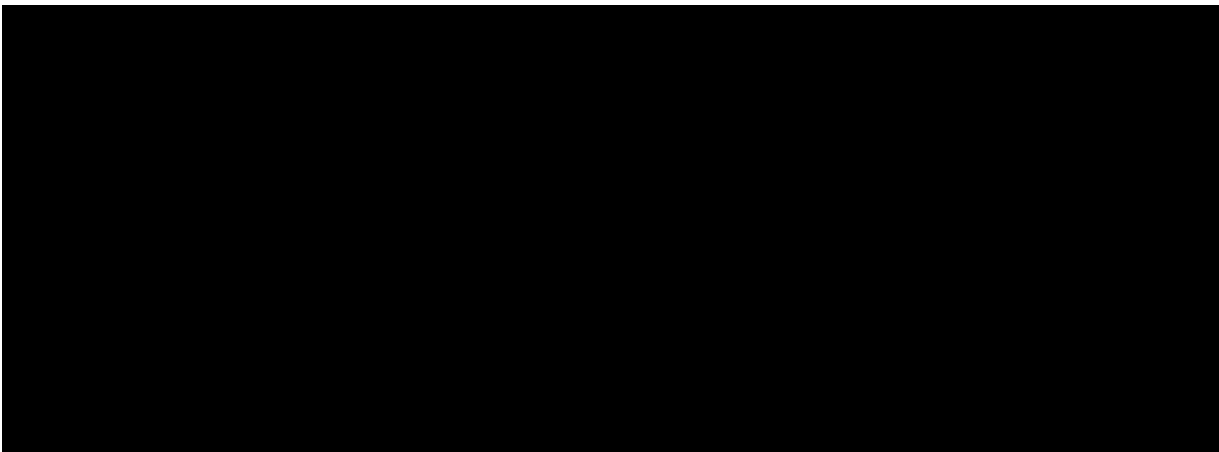
Analizę wykonano dla okresu listopad 2023 – październik 2025, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy rozpatrywanymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego.

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

---



## Oszacowanie populacji



\*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

Bezpośrednią konsekwencją decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych. Chorzy, którzy dotychczas nie mogli stosować żadnego leczenia, uzyskają dostęp do jedynej zarejestrowanej opcji leczenia ciężkiego ślinotoku za pomocą leku Sialanar®. W konsekwencji finansowanie leku Sialanar® zapewni dzieciom z mózgowym porażeniem dziecięcym dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia ślinotoku oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.



Należy podkreślić, iż w analizie konserwatywnie nie uwzględniono kosztów w ramieniu braku leczenia (również w związku z brakiem danych dotyczących częstości generowania dodatkowych kosztów), niemniej jednak przewlekłe ślinienie się wiąże się z ryzykiem wystąpienia wtórnych zakażeń bakteryjnych czy grzybiczych, kończąc na niebezpiecznej aspiracji śliny do płuc, co może generować koszty również w ramieniu braku leczenia.

---

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Sialanar<sup>®</sup> należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla szerokiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Sialanar<sup>®</sup> przyczyni się do znaczącej poprawy sytuacji dzieci z mózgowym porażeniem dziecięcym, z ciężką postacią ślinotoku w Polsce.

---

---

## 8. Załączniki

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

W przypadku leku Sialanar® nie są spełnione wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 Ustawy o refundacji. Nie ma to jednak żadnego wpływu na decyzję w zakresie kwalifikacji do wspólnej albo odrębnej grupy limitowej. Zapis punktu 1 („... w przypadku, gdy droga podania leku lub jego postać farmaceutyczna w istotny sposób ma wpływ na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny”) dotyczy tylko sytuacji, w której lek zawierający daną substancję czynną jest już refundowany (ale jest to lek o innej drodze podania lub innej postaci farmaceutycznej niż lek wnioskowany). Zapisy punktu 3 dotyczą wyłącznie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia. Lek Sialanar® nie jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia.

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że leku Sialanar® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych. Lek ten nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy o refundacji* ze względu na brak: tej samej nazwy międzynarodowej, brak tych samych mechanizmów działania i podobnych działań terapeutycznych, zgodności wskazań i przeznaczeń, tej samej skuteczności w porównaniu do jakiegokolwiek innego obecnie refundowanego preparatu.

Objęcie refundacją bromku glikopironium może nastąpić tylko w drodze utworzenia nowej grupy limitowej. Nie jest możliwe włączenie leku Sialanar® do jednej z już istniejących grup limitowych, gdyż nie ma grupy limitowej dla preparatów, które miałyby te same wskazania i przeznaczenia oraz sposób działania i udowodnioną skuteczność, więc nie będzie spełniony warunek z art. 15 ust. 2 pkt 1 *Ustawy o refundacji*.

---

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

Tabela 25.

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 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 | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 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. |

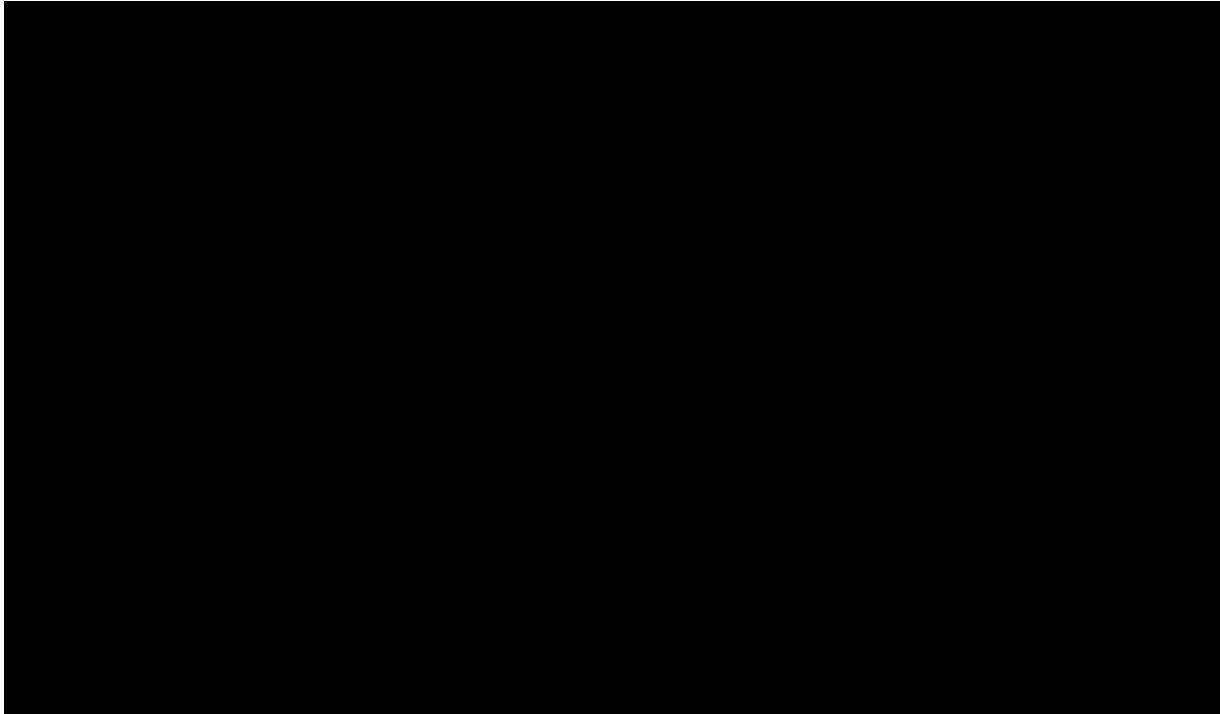
| Nr    | Zadanie  | Tak/Nie/nie dotyczy  |
|-------|--|--|
| 5.1.  | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii  | TAK, rozdział 2.8.2.   |
| 6.    | Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania 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 8.1.   |
| 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<br>(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>  | NIE  |
| 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 8.1.   |

---

### 8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 26.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)\*



\*Wartości oszacowane z dokładnością zbliżną z tą przyjętą dla wyników analizy, dodatkowo zaokrąglone w górę do pełnych opakowań

---

---

## 9. Spis tabel

|  |    |
|--|----|
| Tabela 1. Częstości występowania wybranych zaburzeń neurologicznych podane w publikacji <i>Zablotsky 2020</i> .....  | 14 |
| Tabela 2. Stanowisko ekspertów klinicznych dotyczące oszacowania liczby chorych z ciężkim i obitym ślinotokiem powiązanych z zaburzeniami neurologicznymi ..   | 16 |
| Tabela 3. Populacja wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....  | 18 |
| Tabela 4. Populacja docelowa uwzględniona w horyzoncie czasowym analizy wpływu na system ochrony zdrowia .....   | 19 |
| Tabela 5. Odsetek chorych, wśród wszystkich chorych kwalifikujących się do leczenia lekiem zawierającym bromek glikopironium (ciężka postać ślinotoku u dzieci i młodzieży, w wieku od 3 lat, z przewlekłymi zaburzeniami neurologicznymi) jaki rozpocznie nim leczenie w przypadku jego refundacji .. | 20 |
| Tabela 6. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją...  | 21 |
| Tabela 7. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....   | 22 |
| Tabela 8. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne .....   | 23 |
| Tabela 9. Dawkowanie bromku glikopironium, w zależności od masy ciała i poziomu dawkowania, podane w ChPL Sialanar® .....  | 24 |
| Tabela 10. Dawkowanie bromku glikopironium, w zależności od wieku i poziomu dawkowania, uwzględnione w analizie podstawowej .....  | 24 |
| Tabela 11. Dawkowanie bromku glikopironium, w zależności od wieku i poziomu dawkowania, uwzględnione w analizie wrażliwości .....  | 25 |
| Tabela 12. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN) .....  | 26 |

---

---

|  |    |
|--|----|
| Tabela 13. Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN) ....   | 26 |
| Tabela 14. Średnie koszty roczne oszacowane przy przyjęciu średniego rocznego czasu leczenia chorego równego 100 dni (ok. 3,29 miesiąca) .....                                     | 27 |
| Tabela 15. Średnie koszty roczne oszacowane na podstawie modelowania <i>Analizy ekonomicznej</i> , wykorzystane w dodatkowym wariancie analizy wrażliwości..                       | 27 |
| Tabela 16. Koszty ponoszone w terapii bromkiem glikopironium w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN).....  | 28 |
| Tabela 17. Koszty ponoszone na lek Sialanar® w terapii bromkiem glikopironium u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN).....                                       | 28 |
| Tabela 18. Koszty ponoszone w przypadku leczenia komparatorem w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN).....   | 28 |
| Tabela 19. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet .....   | 30 |
| Tabela 20. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego.....   | 35 |
| Tabela 21. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej.....   | 35 |
| Tabela 22. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego.....   | 39 |
| Tabela 23. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej ...  | 41 |
| Tabela 24. Aspekty społeczne i etyczne.....  | 46 |
| Tabela 25. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> ..... | 52 |
| Tabela 26. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań leku (w miesięcznych okresach)* .....                 | 54 |

---



---

## 10. Spis rysunków

|   |    |
|---|----|
| Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....  | 13 |
| Rysunek 2. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego (PLN) ..... | 37 |
| Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej (PLN) .....             | 37 |

---

## 11. Bibliografia

| Publikacja/Źródło danych            | Referencje  |
|-------------------------------------|---|
| Analiza ekonomiczna                 | <i>Sialanar® (bromek glikopironium) stosowany w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym</i> , Analiza ekonomiczna, MAHTA 2023  |
| Analiza kliniczna                   | <i>Sialanar® (bromek glikopironium) stosowany w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym</i> , Analiza kliniczna, MAHTA 2023  |
| Analiza problemu decyzyjnego        | <i>Sialanar® (bromek glikopironium) stosowany w objawowym leczeniu ciężkiej postaci ślinotoku (przewlekłego patologicznego wydzielania śliny) u dzieci i młodzieży w wieku od 3 lat z mózgowym porażeniem dziecięcym</i> , Analiza problemu decyzyjnego, MAHTA 2023   |
| Baxter 2015                         | Baxter A.J., Brugh T.S., Erskine H.E. i in., <i>The epidemiology and global burden of autism spectrum disorders</i> . Psychol Med. 2015 Feb;45(3):601-13.   |
| ChPL Sialanar®                      | Charakterystyka Produktu Leczniczego Sialanar®  |
| Dane dostarczone przez Wnioskodawcę | Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej oraz danych dotyczących standardów terapeutycznych leczenia bromkiem glikopironium (dane CPRD)  |
| Dane GUS 2021                       | Ludność według płci i wieku - Stan w dniu 30 czerwca 2021 r. <a href="https://demografia.stat.gov.pl/BazaDemografia/Downloader.aspx?file=pl_lud_2021_00_05_k2.zip&amp;sys=lud">https://demografia.stat.gov.pl/BazaDemografia/Downloader.aspx?file=pl_lud_2021_00_05_k2.zip&amp;sys=lud</a>                      |
| Dohar 2019                          | Dohar JE. Sialorrhoea & aspiration control - A minimally invasive strategy uncomplicated by anticholinergic drug tolerance or tachyphylaxis. International Journal of Pediatric Otorhinolaryngology. 2019; 116:97–101.  |
| EUROCAT 2022                        | <a href="https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/eurocat/eurocat-data/prevalence_en">https://eu-rd-platform.jrc.ec.europa.eu/eurocat/eurocat-data/prevalence_en</a>   |
| Fairhurst 2011                      | Fairhurst C.B., Cockerill H. <i>Management of drooling in children</i> . Arch Dis Child Educ Pract Ed. 2011 Feb;96(1):25-30.  |
| Latos-Bielińska 2010                | Latos-Bielińska A., Materna-Kiryluk A., <i>Wrodzone wady rozwojowe w Polsce w latach 2005-2006</i> , Zespół Polskiego Rejestru Wrodzonych Wad Rozwojowych, Poznań 2010, ISBN 978-83-7597-105-7  |
| Lyall 2017                          | Lyall K., Croen L., Daniels J., i in., <i>The Changing Epidemiology of Autism Spectrum Disorders</i> . Annu Rev Public Health. 2017 Mar 20;38:81-102.   |
| NFZ Łódź 2016                       | <a href="https://www.nfz-lodz.pl/dlapacjentow/nfz-blizej-pacjenta/7366-kampania-17-milionow-blizej-pacjentow-z-mozgowym-porazeniem-dzieciecym">https://www.nfz-lodz.pl/dlapacjentow/nfz-blizej-pacjenta/7366-kampania-17-milionow-blizej-pacjentow-z-mozgowym-porazeniem-dzieciecym</a> (dostęp: 27.07.2023 r.) |
| Polski Autyzm 2015                  | <a href="https://polskiautyzm.pl/rozpowszechnienie-autyzmu/">https://polskiautyzm.pl/rozpowszechnienie-autyzmu/</a> (dostęp: 27.07.2023 r.)   |
| Reid 2012                           | Reid S.M., McCutcheon J., Reddihough D.S., Johnson H., <i>Prevalence and predictors of drooling in 7- to 14-year-old children with cerebral palsy: a population study</i> . Dev Med Child Neurol. 2012 Nov;54(11):1032-6.   |

| Publikacja/Źródło danych                            | Referencje   |
|---|--|
| Riva 2022   | Riva, A., Amadori, E., Vari, M.S. i in., <i>Impact and management of drooling in children with neurological disorders: an Italian Delphi consensus</i> . Ital J Pediatr 48, 118 (2022).  |
| 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 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   |
| Rybakowski 2014                                     | Rybakowski F., Białek A., Chojnicka I. i in., <i>Zaburzenia ze spektrum autyzmu - epidemiologia, objawy, współzachorowalność i rozpoznawanie</i> , Psychiatria Polska 2014; 48(4): 653–665, October 2014, PL ISSN 0033-2674  |
| Speyer 2019   | Speyer, R., Cordier, R., Kim, J.H. i in., <i>Prevalence of drooling, swallowing, and feeding problems in cerebral palsy across the lifespan: a systematic review and meta-analyses</i> . Dev Med Child Neurol, 61: 1249-1258.  |
| Tahmassebi 2003                                     | Tahmassebi J.F., Curzon M.E., <i>Prevalence of drooling in children with cerebral palsy attending special schools</i> . Dev Med Child Neurol. 2003 Sep;45(9):613-7.  |
| 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  |
| WHOCC   | <a href="https://www.whocc.no/atc_ddd_index/">https://www.whocc.no/atc_ddd_index/</a> (data dostępu: 13.08.2023 r.)  |
| Wykaz leków refundowanych                           | Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 września 2023 r.   |
| Wytoczne AOTMiT                                     | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytoczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016   |
| Zablotsky 2020                                      | Zablotsky B., Black L.I., Maenner M.J. i in., <i>Prevalence and Trends of Developmental Disabilities among Children in the United States: 2009-2017</i> . Pediatrics. 2019 Oct;144(4):e20190811.   |