



IGNORANTIA NOCET

Enspryng[®] (satralizumab) w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
Wersja 1.1

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:
Roche Polska Sp. z o.o.

Warszawa, 10.09.2024 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 02-616
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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana 10.09.2024 r. w związku z uwagami zawartymi w piśmie WS.423.1.2024.ZZW.AZ.2. z dnia 26 sierpnia 2024 r. Pierwotnie analiza została zakończona 28.06.2024 r.

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

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 Roche Polska Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	7
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....	12
2. Analiza wpływu na budżet.....	12
2.1. Metodyka analizy	12
2.2. Horyzont czasowy	13
2.3. Perspektywa	14
2.4. Scenariusze porównywane	14
2.5. Populacja	15
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.....	15
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku	18
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. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej	26
2.6.3. Modelowanie kosztów	26
2.6.4. Podsumowanie kosztów.....	30
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	33
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	37
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	37
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe	37
3. Analiza wrażliwości i analiza scenariuszy	44
4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	55
5. Aspekty etyczne i społeczne	55
6. Założenia i ograniczenia	57
7. Podsumowanie i wnioski końcowe	59
8. Załączniki	62
8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii medycznej w ramach istniejącej grupy limitowej.....	62
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	63
9. Spis tabel	65
10. Spis rysunków	68
11. Bibliografia.....	69

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AQP4	ang. <i>aquaporin-4</i> - akwaporyna 4
AQP4-IgG+	ang. <i>antibodies to aquaporin-4</i> - przeciwciała IgG przeciwko akwaporynie 4
ARR	ang. <i>annualized relapse rate</i> – roczny wskaźnik nawrotu choroby
AZA	azatiopryna
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CI	ang. <i>confidence interval</i> – przedział ufności
DDD	ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku
EAN	ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy
EDSS	ang. <i>Expanded Disability Status Scale</i> – Rozszerzona Skala Niepełności
EMA	ang. <i>European Medicines Agency</i> – Europejska Agencja Leków, dawniej używanym skrótem jest EMEA
FACIT-F	ang. <i>Functional Assessment of Chronic Illness Therapy questionnaire</i> – kwestionariusz oceny funkcjonalnej przewlekle chorych
FM	Fundusz Medyczny
HTA	ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych
i.v.	łac. <i>intravenous</i> – dożylnie
IS	istotność statystyczna
LP	leczenie podtrzymujące
m.c.	masa ciała
MMF	mykofenolan mofetylu
MZ	Minister Zdrowia
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i> – Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych
NMO	łac. <i>neuromyelitis optica</i> – zapalenie rdzenia kręgowego i nerwów wzrokowych
NMOSD	ang. <i>neuromyelitis optica spectrum disorder</i> – choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego
p.o.	łac. <i>per os</i> – doustnie
PDR	ang. <i>Protocol Defined Relapse</i> – częstość występowania rzutu choroby definiowania zgodnie z protokołem
PKB	produkt krajowy brutto
PL	program lekowy
PLC	placebo
PLN	polski złoty
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka

Skrót	Rozwinięcie
s.c.	łac. <i>sub cutem</i> – podskórnice
SAT	satralizumab
Sd	ang. <i>standard deviation</i> – odchylenie standardowe
SM	łac. <i>sclerosis multiplex</i> - stwardnienie rozsiane
SMR	ang. <i>standardized mortality ratio</i> – standaryzowany współczynnik umieralności
TCR	ang. <i>T-cell receptor</i> – receptor limfocytu T
TTOT	ang. <i>time to off treatment</i> - czas do zakończenia leczenia

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 Enspryng® (satralizumab, SAT) w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego.

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 chorzy ze spektrum chorób zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (ang. *neuromyelitis optica spectrum disorder*, NMOSD) w wieku 12 lat i starsi, u których wykryto obecność przeciwciał IgG przeciwko akwaporynie 4 (AQP4-IgG). Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem oraz obciążeniem. NMOSD jest rzadką, ciężką chorobą autoimmunologiczną ośrodkowego układu nerwowego (OUN) o charakterze zapalno-demielinizacyjnym, która najczęściej charakteryzuje się zapaleniem nerwu wzrokowego i poprzecznym zapaleniem rdzenia kręgowego. Duże obciążenie dla chorych z NMOSD stanowi nawrotowy charakter choroby. Występujące nieprzewidywalnie rzuty istotnie ograniczają sprawność chorych. Problemy z widzeniem i/lub paraliż kumulują się zazwyczaj po atakach choroby, mogąc prowadzić do tego, że już po pierwszym epizodzie rzutu chorzy doświadczają ciężkiej niepełnosprawności. Praktyka kliniczna leczenia chorych na NMOSD AQP4+ w Polsce opiera się na zapisach wprowadzonego w listopadzie 2022 r. Programu lekowego B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”, w ramach którego objęty finansowaniem ze środków publicznych jest satralizumab.

Objęcie satralizumabu refundacją było wysoce oczekiwane przez ekspertów klinicznych, wskazujących na satralizumab jako na lek działający przyczynowo, umożliwiający kontrolę choroby, przy jednoczesnym dobrym profilu bezpieczeństwa. Satralizumab jest jedynym lekiem finansowanym w ramach Programu lekowego B.138. FM, a więc jego stosowanie w sposób realny wpływa na podejmowane decyzje terapeutyczne i poprawę stanu zdrowia

chorych. W przypadku braku refundacji satralizumabu, dostępne w Polsce immunosupresyjne leczenie podtrzymujące nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Z uwagi na wykazaną skuteczność satralizumabu u chorych na NMOSD istnieje znacząca potrzeba medyczna przedłużenia jego finansowania ze środków publicznych w Polsce w leczeniu tej jednostki chorobowej w ramach Programu lekowego.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących ze stanowiska ekspertów klinicznych.

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, w której SAT nie będzie refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego stosowane będzie jedynie leczenie podtrzymujące (LP) scharakteryzowane w *Analizie problemu decyzyjnego*, tj. leczenie azatiopryną (AZA), glikokortykosteroidami (GKS) lub mykofenolanem mofetylu (MMF). W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której satralizumab stosowany w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego będzie finansowany ze środków publicznych (zmieni się sposób refundacji – do końca 2024 roku SAT jest finansowany w ramach Funduszu Medycznego (FM)). 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 programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej. Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: koszty leków, koszty przepisania i podania leków, koszty leczenia podtrzymującego, koszty leczenia po niepowodzeniu leczenia podtrzymującego, koszt leczenia rzutów choroby, koszty leczenia w stanach, koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego, koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia.

W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Podmiot odpowiedzialny umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki

płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w związku z tym w dwóch wersjach: bez i z uwzględnieniem proponowanego przez Podmiot RSS.

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 i analizę scenariuszy.

WYNIKI

Oszacowanie populacji

Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej wynosi w wariacie

[REDACTED]

Należy podkreślić, iż obecnie na podstawie danych z protokołów z posiedzeń *Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Pacjentów ze Spektrum Zapalenia Nerwów Wzrokowych i Rdzenia Kręgowego*, zakwalifikowanych do leczenia satralizumabem jest 120 chorych (dane aktualne na marzec 2024 r.)

Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

Porównując scenariusz istniejący – zakładający brak refundacji, ze scenariuszem nowym - zakładającym przedłużenie refundacji satralizumabu, nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego.

W przypadku **braku uwzględnienia RSS** łączne wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej wzrosną w wariacie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym) o 72,6 mln PLN (56,3 mln PLN; 112,5 mln PLN) w 1. roku refundacji i o 70,1 mln PLN (53,6 mln PLN; 110,4 mln PLN) w 2. roku refundacji. [REDACTED]

[REDACTED]

Wnioskować można, że RSS zapewnia stabilny poziom wydatków płatnika publicznego w kolejnych latach finansowania satralizumabu ze środków publicznych.

Wyniki przeprowadzonej jednokierunkowej analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy wskazują, że największy wpływ na wyniki analizy mają następujące parametry / scenariusze:


- 

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego.

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o przedłużeniu finansowania ze środków publicznych satralizumabu (Enspryn®) w ramach programu lekowego.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie przedłużenie refundacji leku wysoce skutecznego w leczeniu NMOSD oraz wysoce oczekiwanego przez ekspertów klinicznych.

W konsekwencji finansowanie leku Enspryn zapewni chorym na choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego dostęp do jedyne skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. 

Mając na uwadze racjonalizację środków w ochronie zdrowia oraz wychodząc naprzeciw oczekiwaniom Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Funduszu Zdrowia w zakresie refundacji leków, Zamawiający proponuje zawarcie umowy podziału ryzyka (RSS).

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Enspryng® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń gdyż lek jest refundowany od listopada 2022 roku

Obecnie satralizumab stał się standardem postępowania w NMOSD w Polsce. Od listopada 2022 roku obowiązuje program lekowy B.138.FM, który dotyczy leczenia pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego. Pacjenci włączeni do tego programu otrzymują terapię satralizumabem. Warto podkreślić, iż znaczna część chorych z rozpoznaniem NMOSD w Polsce odnosi korzyści zdrowotne ze stosowania satralizumabu (zgodnie z najaktualniejszymi danymi zakwalifikowanych do leczenia satralizumabem jest 120 chorych), zapobiegającemu kolejnym rzutom choroby. Korzystny profil bezpieczeństwa oraz skuteczność leku w grupie pacjentów z obecnymi przeciwciałami przeciwko akwaporynie 4, udowodnione wynikami badań klinicznych SAKuraSky i SAKuraSTAR, mają zatem swoje odzwierciedlenie w rzeczywistej praktyce klinicznej.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Enspryng® przyczyni się do poprawy sytuacji chorych na choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego 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 Enspryng® (satralizumab) w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Enspryng® 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 docelową dla technologii wnioskowanej na podstawie danych uzyskanych od ekspertów klinicznych zajmujących się chorymi z NMOSD [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę].
 3. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego, począwszy od stycznia 2025 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 (leczenie podtrzymujące).
-

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 stycznia 2025 r. do grudnia 2026 r. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest brak alternatywnej technologii refundowanej w rozważanym wskazaniu, jak również fakt, iż lek Enspryng® jest obecnie finansowany w ramach Funduszu Medycznego. Ponadto wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny oraz ogranicza stosowanie technologii medycznej do wybranych ośrodków kontraktujących program lekowy.

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 minimalnym 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 publiczny¹)
- 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, w której technologia wnioskowana zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* nie jest refundowana w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego od roku 2025.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (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.

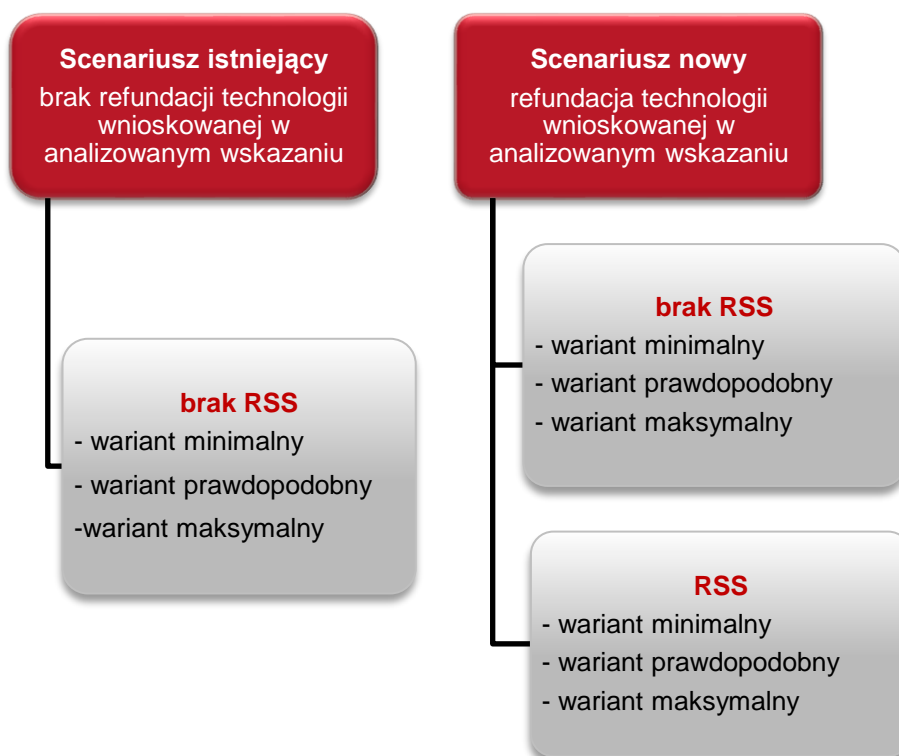
Wyniki analizy przedstawiono w dwóch wersjach: bez wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka oraz po wprowadzeniu proponowanych instrumentów dzielenia ryzyka (RSS).

¹ Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

Analizowane scenariusze (istniejący, nowy), wersje (z RSS, bez RSS) 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 *ChPL Enspryng®*. Zgodnie z *ChPL Enspryng®*, satralizumab jest wskazany w leczeniu spektrum chorób zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego u chorych w wieku 12 lat i starszych, u których wykryto obecność przeciwciał IgG przeciwko akwaporynie 4 (AQP4-IgG) w monoterapii lub w skojarzeniu z terapią immunosupresyjną.

Na podstawie danych przedstawionych w *EPAR Enspryng* uwzględniono, iż zapadalność NMO(SD) wynosi 0,07-0,079 na 100 000, a chorobowość 1,04-1,09 na 100 000.

Liczebność populacji Polski oparto na *Danych GUS*. Jest to oszacowanie maksymalne, w której technologia wnioskowana może zostać zastosowana (przyjęto, że wszyscy chorzy z NMOSD będą w wieku 12 lat lub starsi). Zgodnie z *EPAR Enspryng* u 70-80% (uwzględniono średnio 75% chorych) występują przeciwciała przeciwko akwaporynie-4. Na podstawie wskazanych źródeł epidemiologicznych oszacowano liczbę chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana (liczba nowych przypadków w Polsce wynosi ok. 21 osób rocznie, a liczba chorych ok. 300). W tabeli poniżej przedstawiono zestawienie oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej.

Tabela 1.
Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana zgodnie z danymi epidemiologicznymi

Wskazanie	Wskaźnik chorobowości/zapadalności/ odsetek chorych z AQP4+	Liczba chorych	Źródło
Liczebność populacji polskiej (2024 r.)	n/d	37 532 044	<i>Dane GUS</i>
NMOSD – chorobowość	ŚREDNIA(1,04;1,09)/100000	400	<i>EPAR Enspryng</i>
NMOSD (pacjenci z przeciwciałami AQP4, Europa)	75% (70-80%)	300	
NMOSD (nowodiagnozowani) – zapadalność	ŚREDNIA(0,07;0,079)/100000	28	<i>EPAR Enspryng</i>
NMOSD (najnowsze dane, nowodiagnozowani AQP4)	75% (70-80%)	21	

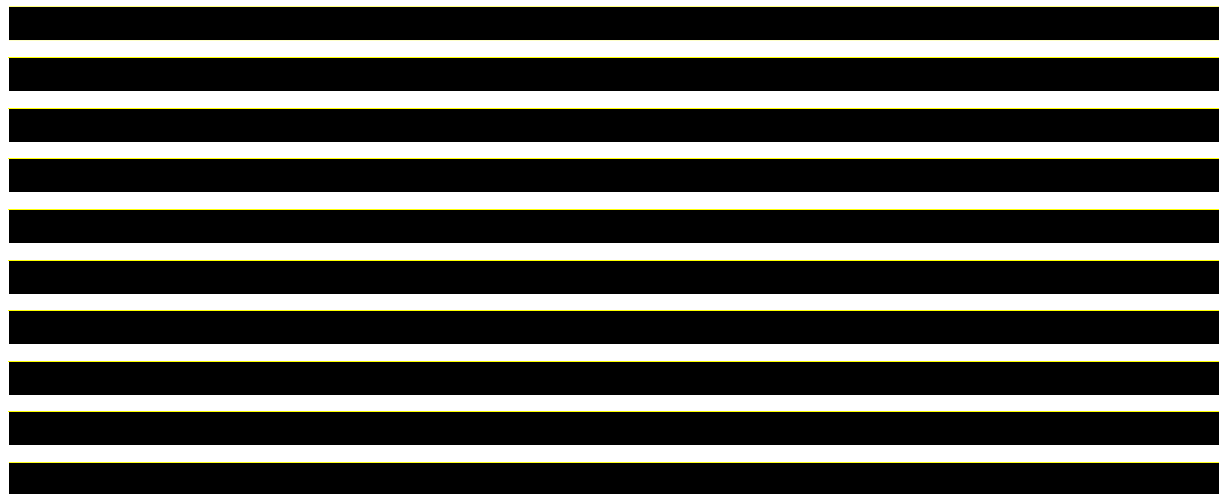
W ramach analizy danych epidemiologicznych oszacowano, że liczebność populacji, w której wnioskowana technologia może zostać zastosowana w Polsce, wynosi ok. 321 chorych do końca 2024 roku (300+21 nowych). Natomiast w kolejnych latach liczba nowych zachorowań na NMOSD chorych z dodatnim mianem przeciwciał AQP4 może wynosić ok. 21 przypadków rocznie.

Oszacowania ogólnej liczby chorych z NMOSD na podstawie danych epidemiologicznych przedstawionych powyżej potwierdzają dane przedstawione przez Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego, które informują, iż na podstawie szacunków lekarzy, w Polsce jest około 400 chorych na NMOSD [PTSR 2024].

Na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Pacjentów ze spektrum NMOSD należy stwierdzić, że do marca 2024 r. do leczenia satralizumabem

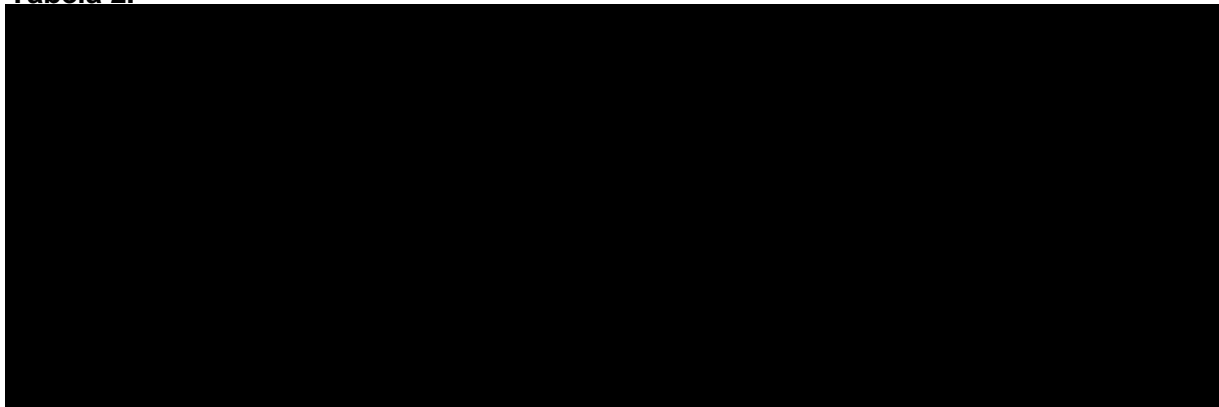
w ramach Programu lekowego zostało zakwalifikowanych łącznie 120 chorych [Protokoły z posiedzeń 2023 – 2024].

Zgodnie z *Danymi GUS* odsetek osób w wieku 12+ w populacji Polski wynosi ok. 88%. Zakładając, iż występowanie NMOSD rozkłada się równomiernie w wszystkich grupach wiekowych, ale biorąc jednak również pod uwagę, że NMOSD manifestuje się w większości przypadków w wieku dorosłym odsetek ten będzie bliższy 100%. Analizując dane dotyczące leczenia SM w *Programie lekowym B.29* na podstawie *Statystyk NFZ* można zauważyć, że w grupie wiekowej 1-17 lat leczonych jest 1% wszystkich chorych leczonych w programie. Ze względu na podobieństwa chorób, jak również problemy diagnostyczne z NMOSD można przyjąć, że odsetek chorych z NMOSD poniżej 12 r.ż. będzie bliski 0%. W analizie przyjęto więc, że wszyscy rozpatrywani chorzy z NMOSD będą w wieku 12 lat lub starsi.



Opisywane dane wraz z oszacowaniami liczebności chorych, u których wnioskowana technologia może zostać zastosowana zebrano w poniższej tabeli.

Tabela 2.



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Trzeba mieć jednak na uwadze, że jak wspomniano powyżej, dane epidemiologiczne powinny być traktowane z dużą ostrożnością. W ostatecznym oszacowaniu przyjęto więc, że liczebność populacji, u której wnioskowana technologia może zostać zastosowana będzie zgodna z oszacowaniami na podstawie opinii ekspertów klinicznych.

Podsumowanie

[REDACTED]

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wskazanie wnioskowane obejmuje węższą populację niż zarejestrowane, określone w *ChPL Enspryng®*. Populację określoną w charakterystyce produktu leczniczego ograniczają dodatkowo zapisy projektowanego *Programu lekowego*. Zapisem, który w największym stopniu ma wpływ na ograniczenie populacji zgodnej z *ChPL Enspryng®* ma kryterium dotyczące oceny stanu chorego w skali EDSS. Zgodnie z zapisami projektowanego *Programu lekowego*, do leczenia mogą kwalifikować się chorzy z EDSS od 0 do 6,5 włącznie. [REDACTED]

[REDACTED]

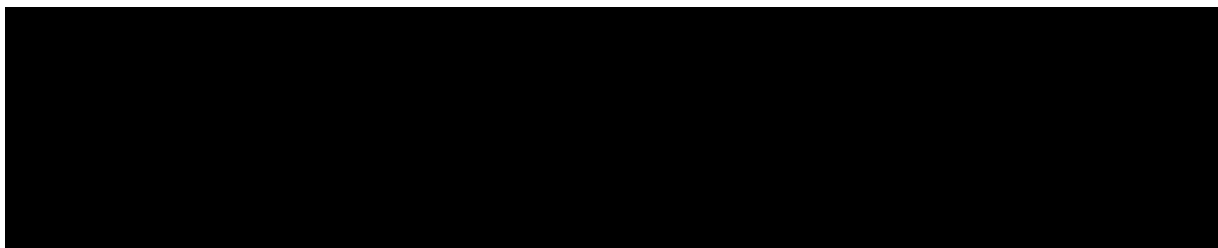
[Redacted text block]

W poniższej tabeli przedstawiono oszacowanie populacji docelowej (Tabela 3.). [Redacted]

[Redacted text block]

Tabela 3.
Populacja docelowa, wskazana we wniosku

[Redacted table content]



*przyjęto wartości tak jak dla 1. roku plus liczba chorych nowo zdiagnozowanych w 2. roku (wartości zaokrąglone do liczb całkowitych)

2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Satralizumab jest obecnie refundowany w ramach Funduszu Medycznego. Na podstawie danych z protokołów z posiedzeń *Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Pacjentów ze Spektrum Zapalenia Nerwów Wzrokowych i Rdzenia Kręgowego*, zakwalifikowanych do leczenia satralizumabem jest obecnie 120 chorych (dane aktualne na marzec 2024 r.).

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 oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

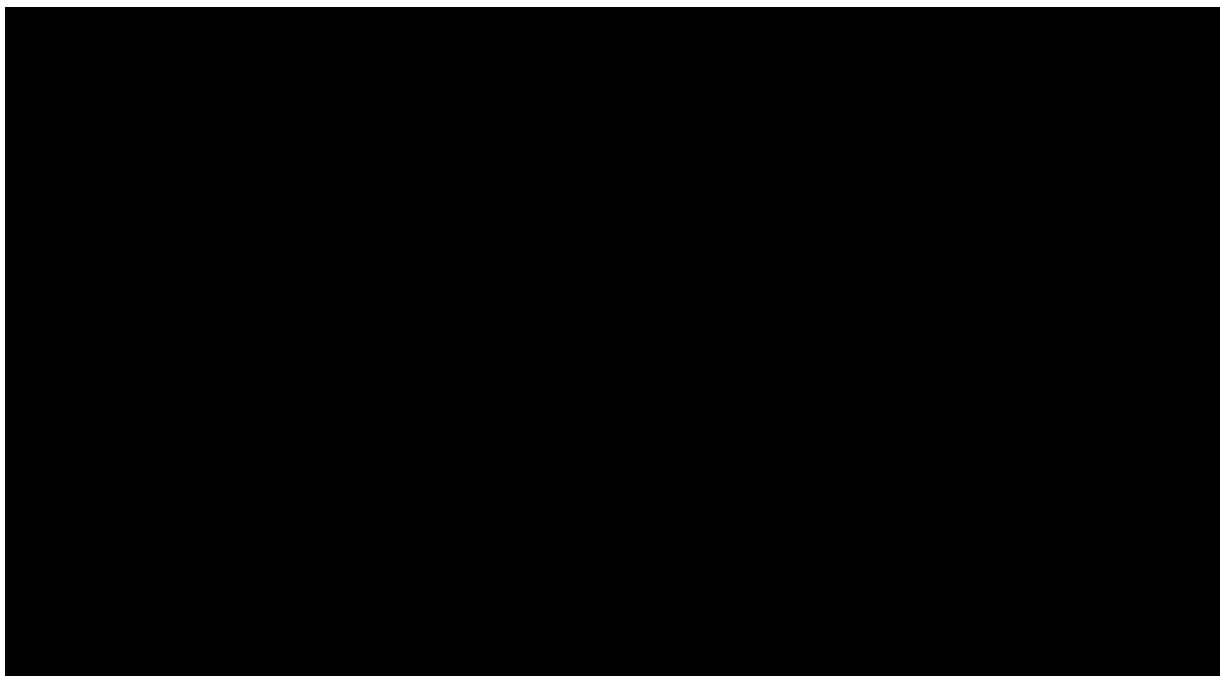
2.5.4.1. Udziały w rynku



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 4.
Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana



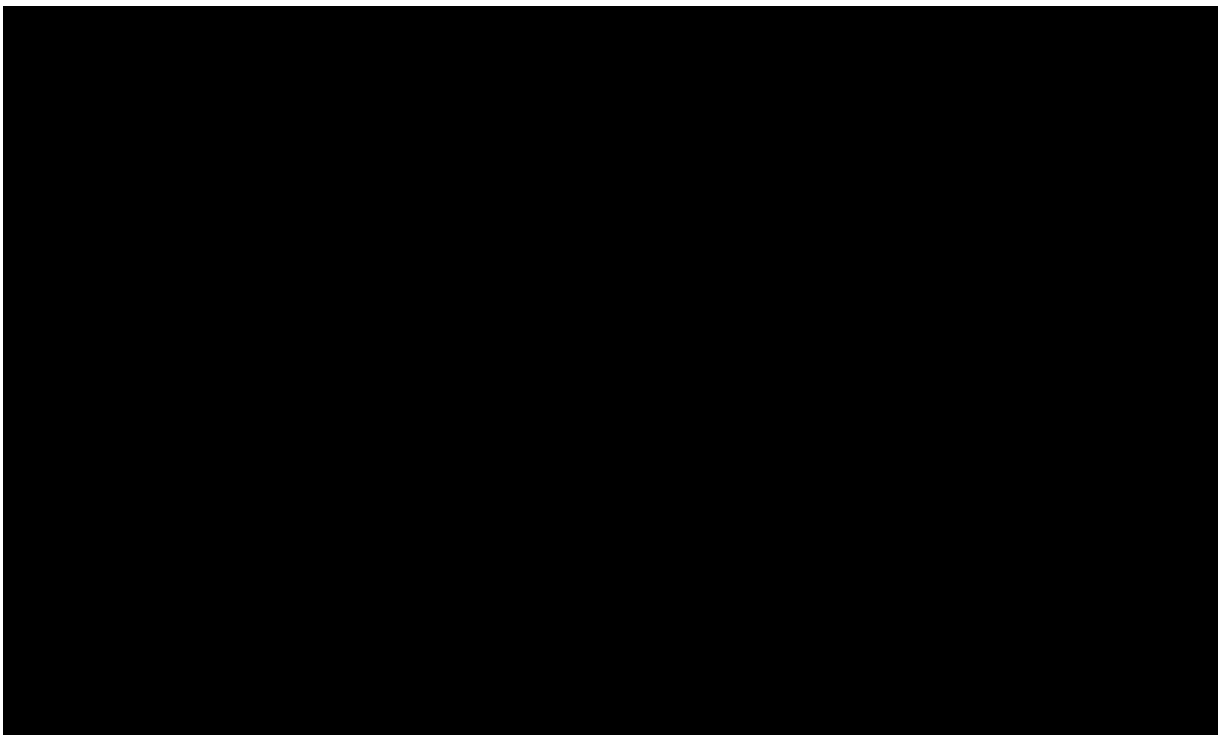
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji satralizumabu, 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 5.
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 leków;
- koszty przepisania i podania leków;
- koszty leczenia podtrzymującego;
- koszty leczenia po niepowodzeniu leczenia podtrzymującego;
- koszt leczenia rzutów choroby;
- koszty leczenia w stanach;
- koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia.

Koszt leczenia działań/zdarzeń niepożądanych uznano za nieróżniący, 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 (Tabela 6.) wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

Tabela 6.
Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszty leczenia działań/zdarzeń niepożądanych	W odniesieniu do analizy bezpieczeństwa opisanej w <i>Analizie klinicznej</i> wskazującej na porównywalny profil bezpieczeństwa analizowanych interwencji oraz ze względu na niską częstotliwość występowania działań/zdarzeń niepożądanych, określono, że ich wpływ na wyniki analizy będzie minimalny.

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

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Enspryng®* i projektu *Programu lekowego* określono, że w satralizumab może być stosowany w monoterapii lub w skojarzeniu z terapią immunosupresyjną (IS) – doustnymi kortykosteroidami (OCs), azatiopryną (AZA) lub mykofenolanem mofetylu (MMF). Dawkowanie u młodzieży ≥ 12 lat z masą ciała ≥ 40 kg jest takie samo jak u chorych dorosłych.

Według *ChPL Enspryng®* zalecaną dawką nasycającą jest 120 mg podawane podskórnice co dwa tygodnie przez pierwsze trzy podania (pierwsza dawka w tygodniu 0., druga w tygodniu 2., a trzecia w tygodniu 4.), zaś w przypadku dawek podtrzymujących zalecane jest 120 mg podawane podskórnice co cztery tygodnie.

W poniższej tabeli przedstawioną zalecaną dawkę nasycającą i podtrzymującą satralizumabu [ChPL Enspryng®].



Tabela 7.
Dawkowanie satralizumabu na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego











Grupa chorych	Dawka nasycająca	Dawka podtrzymująca
Dorośli chorzy	120 mg	120 mg
Młodzież ≥ 12 lat i ≥ 40 kg	120 mg	120 mg

W niniejszej analizie rozpatrywano jedynie dawkowanie satralizumabu w terapii skojarzonej.

2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

Obecnie satralizumab jest finansowany w analizowanym wskazaniu w ramach *Funduszu Medycznego* [Wykaz leków refundowanych]. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej obecnie grupie limitowej (1260.0, *Satralizumab*), zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Lek wnioskowany jest tylko w jednej prezentacji, będzie więc ona stanowiła nadal podstawę limitu w grupie.

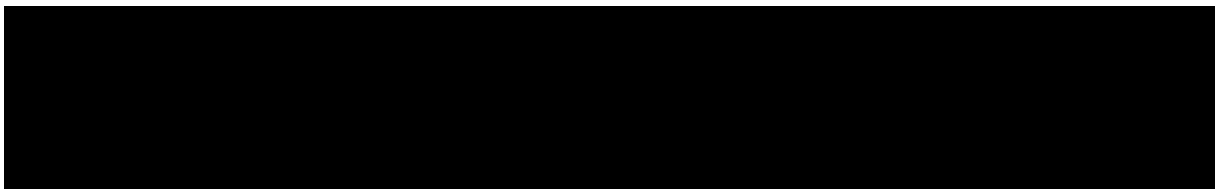

 Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu, cenę hurtową brutto oraz limit finansowania.



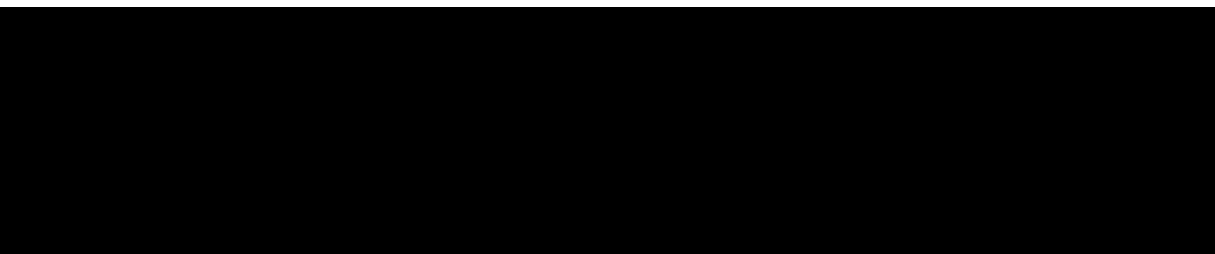
Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 8.).

Tabela 8.
Ceny leku uwzględnione w niniejszej analizie



Na podstawie wskazanego dawkowania oraz cen leków wyznaczono koszt leków w przeliczeniu na opakowanie oraz w rocznym okresie. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

Tabela 9.
Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie podstawowej (PLN) w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej



2.6.2. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej

Satralizumab podawany jest drogą iniekcji podskórnej. W niniejszej analizie w wariancie podstawowym przyjęto, że w ramach kosztu podania leku będzie przypisany jednorazowy koszt na początku leczenia w celu poinstruowania chorego w kwestii prawidłowego podania leku w samodzielnej iniekcji. Założono, że podanie leku będzie odbywać się w ramach świadczenia 5.08.07.0000004. *Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związanym z wykonaniem programu*, którego koszt wyceniany jest na 177,38 PLN (wycena punktowa świadczenia wynosi 108,16 punktów, koszt punktu 1,64 PLN), zgodnie z *Zarządzeniem programy lekowe*. Kolejne podania leków będą odbywały się samodzielnie, a przepisanie leków będzie następowało w ramach wizyt monitorujących.

W analizie wrażliwości testowano dwa alternatywne warianty związane z naliczaniem kosztu podania, tj. brak uwzględnienia kosztu podania oraz koszt podania naliczany przy wszystkich podaniach.

2.6.3. Modelowanie kosztów

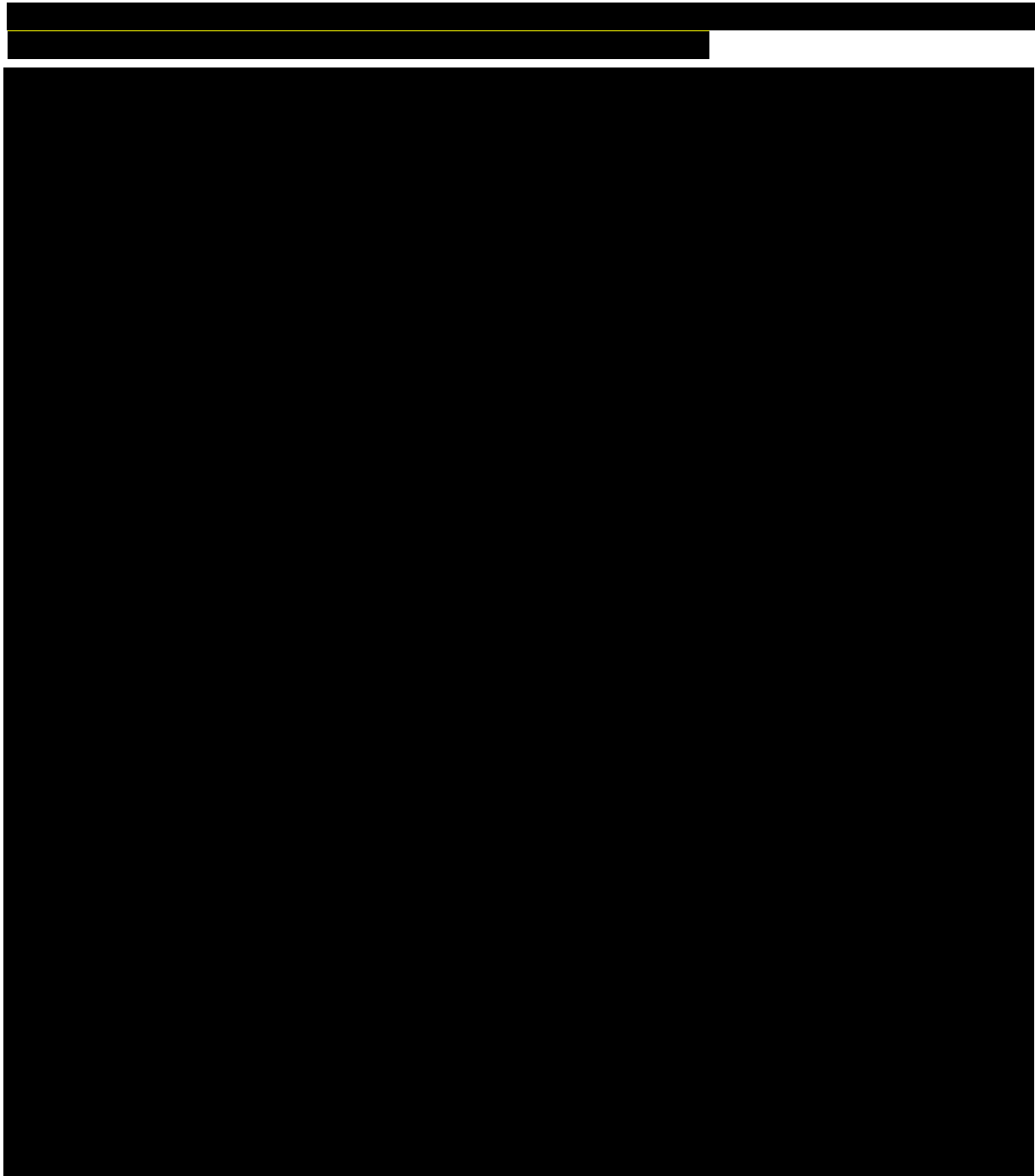
Koszty uwzględnione w niniejszym opracowaniu stanowią wynik przeprowadzonego w *Analizie ekonomicznej* modelowania z uwzględnieniem 2-letniego horyzontu analizy wpływu na budżet. W analizie uwzględniono fakt, że nie wszyscy nowi chorzy rozpoczynają terapię jednocześnie a kwalifikacja do leczenia poszczególnymi terapiami odbywa się płynnie w ciągu całego roku. Przyjęto, że równy odsetek chorych będzie rozpoczynał terapię w 4 tygodniowych interwałach³. W ten sposób około 1/13 rocznej populacji docelowej chorych rozpocznie leczenie w styczniu, 1/13 populacji po upływie 4 tygodni itd. Choremu, który rozpocznie terapię w styczniu, pierwszego roku refundacji przypisany zostanie koszt odpowiadający 2 latom leczenia w modelu ekonomicznym (niezdyskontowany), przy czym w pierwszym roku analizy BIA przypisany zostanie koszt pierwszych 52 tygodni terapii, w drugim roku koszt od 53 do 104 tygodnia terapii w modelu. Z kolei choremu, który rozpocznie leczenie np. w 24 tygodniu roku, w pierwszym roku analizy BIA zostanie przyporządkowany koszt pierwszych 28 tygodni terapii w modelu, w drugim roku BIA koszt od 28 do 80 tygodnia modelu itd.

³ Przyjęto okresy 4 tygodniowe a nie miesięczne z uwagi na fakt, że model analizy ekonomicznej wykonany został z dokładnością do cykli 4-tygodniowych a nie miesięcznych.

Dla chorych zdiagnozowanych stosujących już wcześniej satralizumab uwzględniono koszty z modelowania *Analizy ekonomicznej* od drugiego cyklu (jedynie dawka podtrzymująca).

W tabelach poniżej na przykładzie terapii satralizumabem w skojarzeniu z terapią podtrzymującą przedstawiono sposób naliczania kosztów, który następnie krótko omówiono. Pierwsza tabela przedstawia koszty rocznej terapii chorego wnioskowaną technologią w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia (odpowiedni tydzień roku), kolejne przedstawiają średnie koszty roczne dla wnioskowanej technologii i leczenia podtrzymującego (LP).

Tabela 10.

The table content is completely redacted with a solid black box.

W pierwszej kolumnie powyższej tabeli przedstawiono okres w ciągu roku, w którym nowy chory przystępuje do leczenia, w drugiej kolumnie znajdują się koszty jakie ponosi chory w kolejnych cyklach horyzontu czasowego analizy. W przypadku, gdy chory przystąpi do leczenia w drugim roku horyzontu czasowego analizy BIA na jego całkowity koszt leczenia składają się jedynie koszty 1 roku terapii. Całkowity roczny koszt leczenia w 1. roku terapii chorego został policzony jako suma kosztu w pierwszych 13 cyklach w powyższej tabeli.

Analogicznie oszacowano całkowity roczny koszt w 2. roku terapii. Całkowite koszty roczne (1, i 2 roku terapii) ponoszone w zależności od roku rozpoczęcia leczenia przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 11.



W kolumnie drugiej, w pierwszym wierszu przedstawiono łączny roczny koszt leczenia chorego rozpoczynającego terapię SAT+LP w 1 roku refundacji, ponoszony w pierwszym roku horyzontu czasowego BIA. W kolumnie trzeciej, wiersz pierwszy przedstawiono łączny roczny koszt leczenia chorego rozpoczynającego terapię w 1 roku BIA, ponoszony w drugim roku horyzontu czasowego BIA itd.

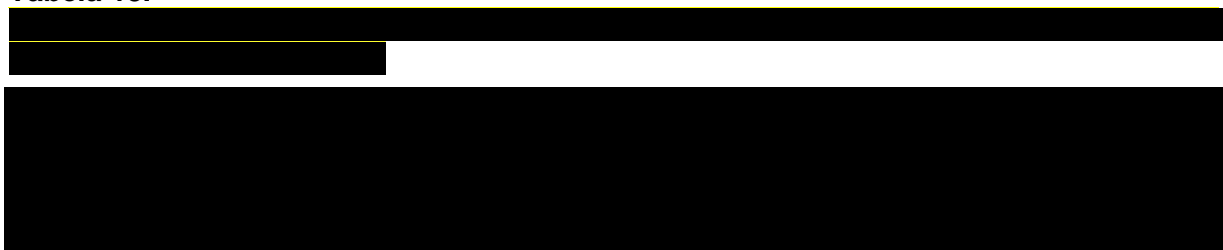
W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone na lek Enspryng® w terapii satralizumabem u chorych.

Tabela 12.



W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone w terapii leczeniem podtrzymującym (LP) u chorych w populacji docelowej.

Tabela 13.



2.6.4. Podsumowanie kosztów

Koszty całkowite różniące poszczególne terapie, z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej dla obu wersji: z uwzględnieniem RSS oraz bez uwzględnienia RSS, w cyklu, zaprezentowano w tabeli poniżej.

Tabela 14.

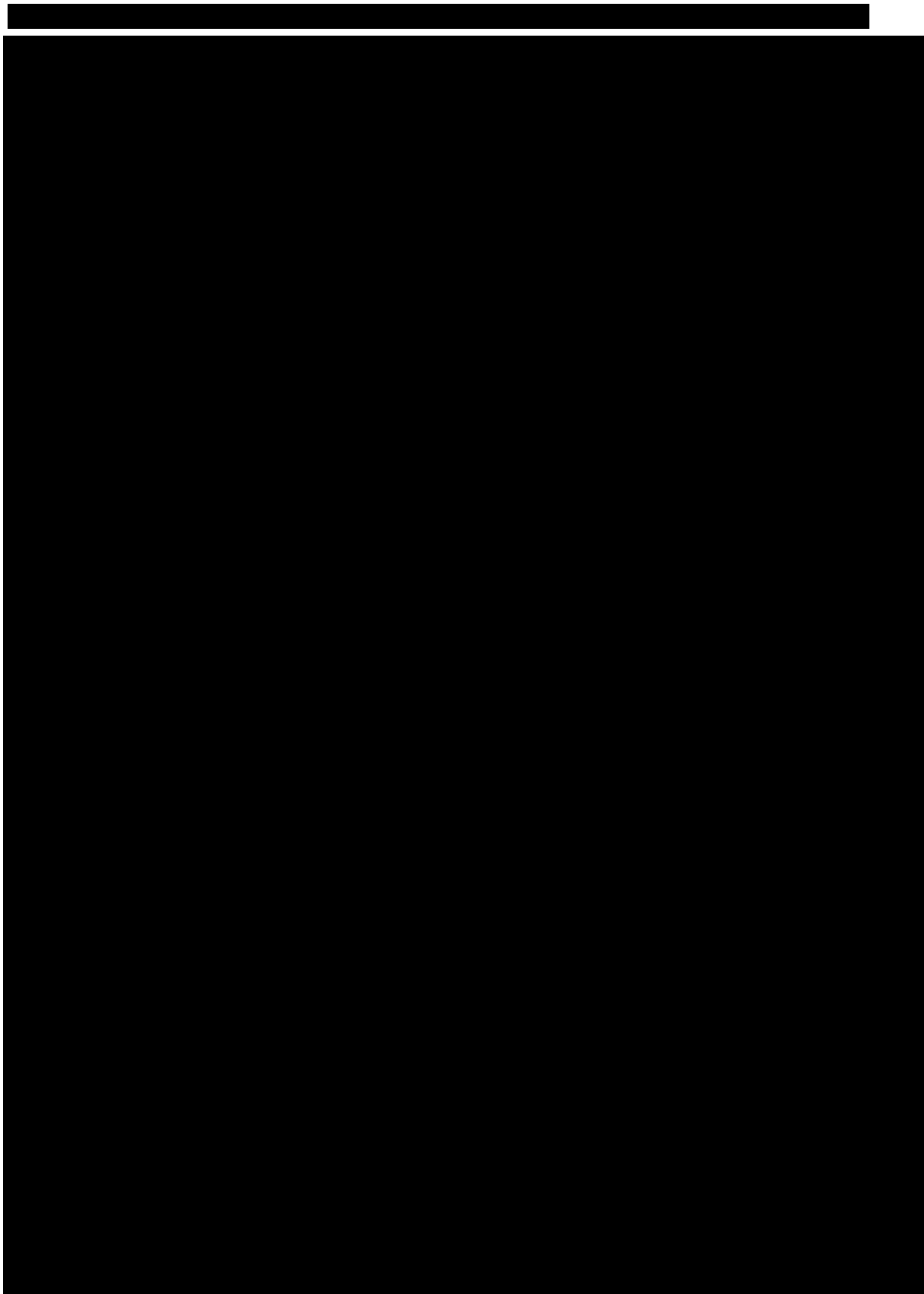
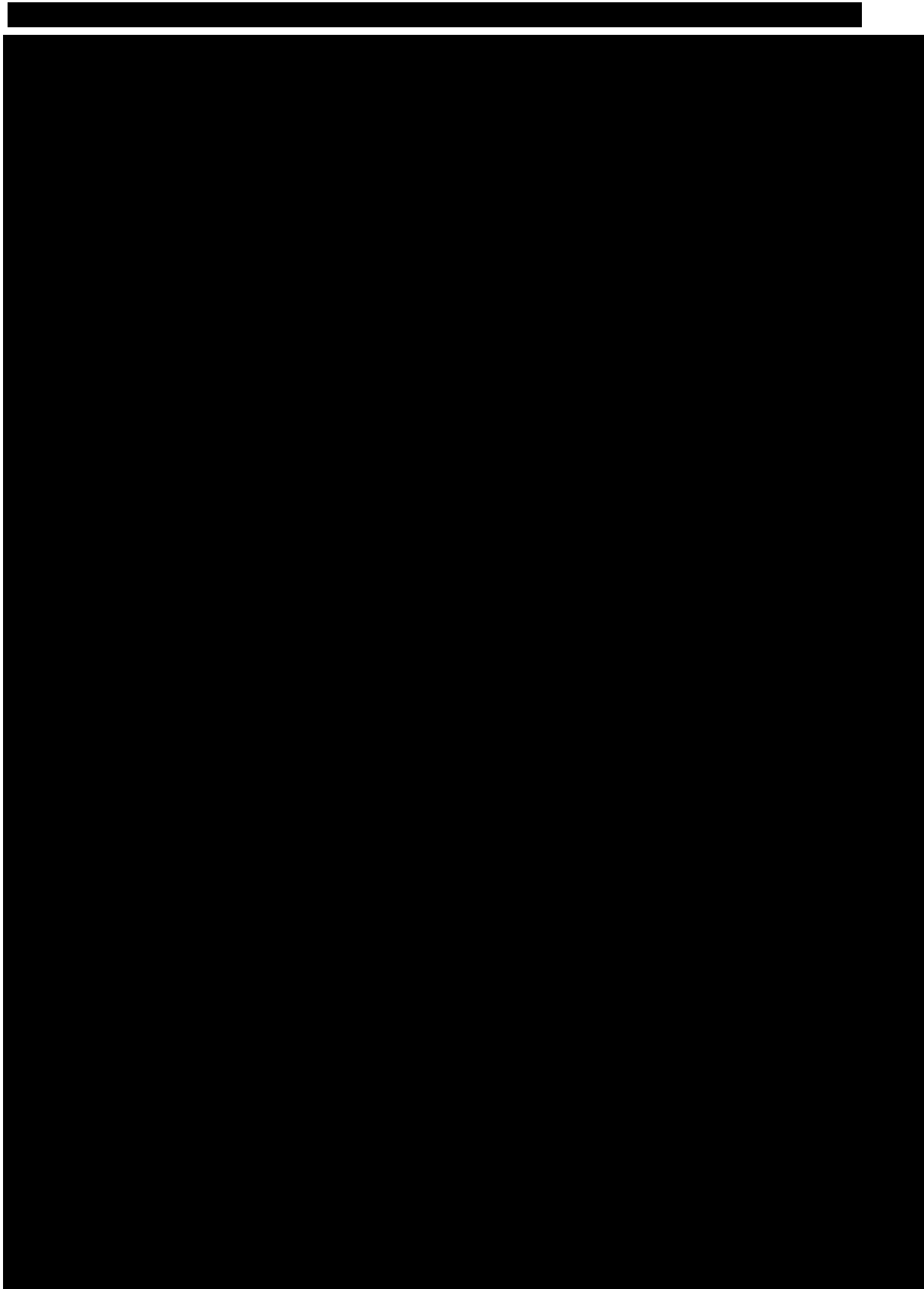


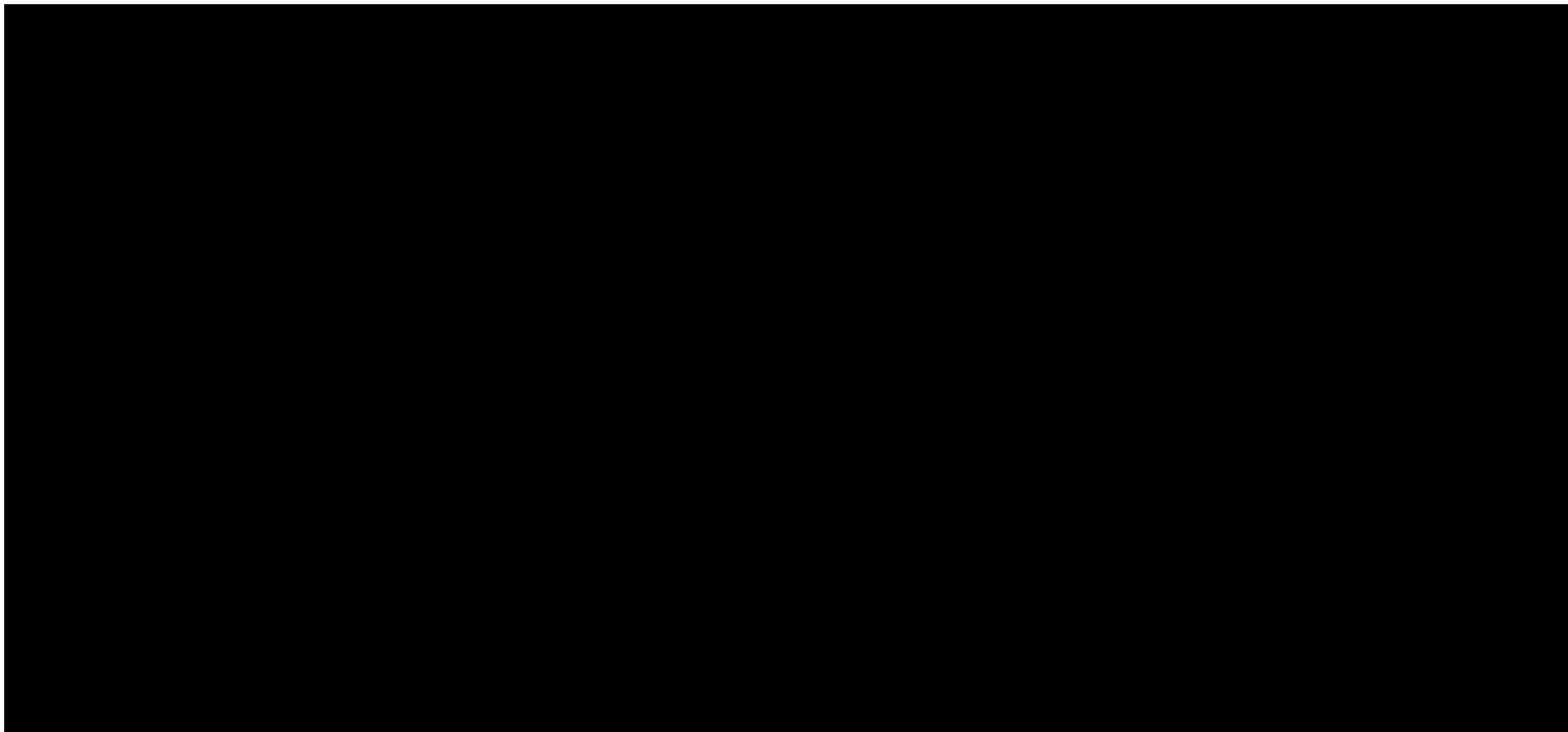
Tabela 15.



2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 16.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet



W poniższych tabelach przedstawiono scenariusze oraz parametry skrajne testowane w analizie wrażliwości. Szczegółowe uzasadnienie przyjętych wartości dotyczących parametrów opisanych w *Analizie ekonomicznej* zawarte jest tamże.

Tabela 17.
Parametry testowane w analizie wrażliwości

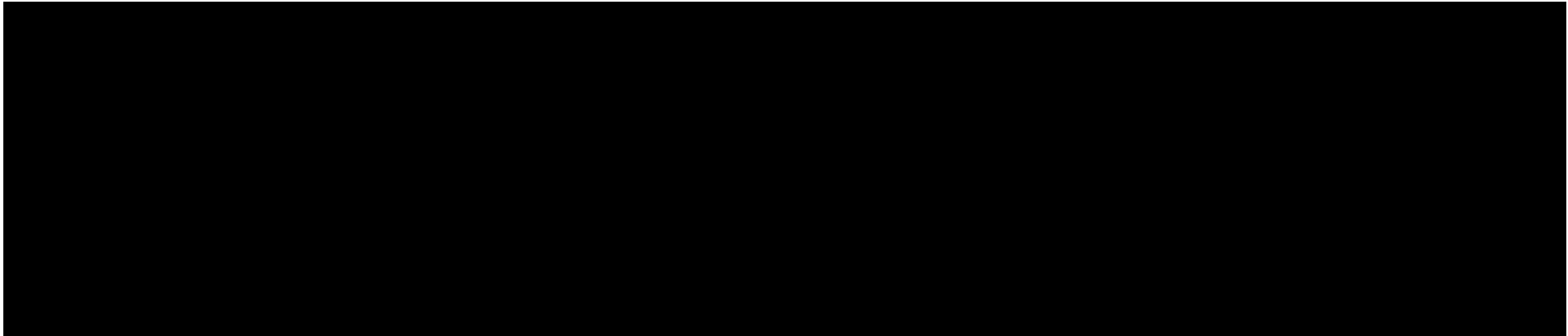
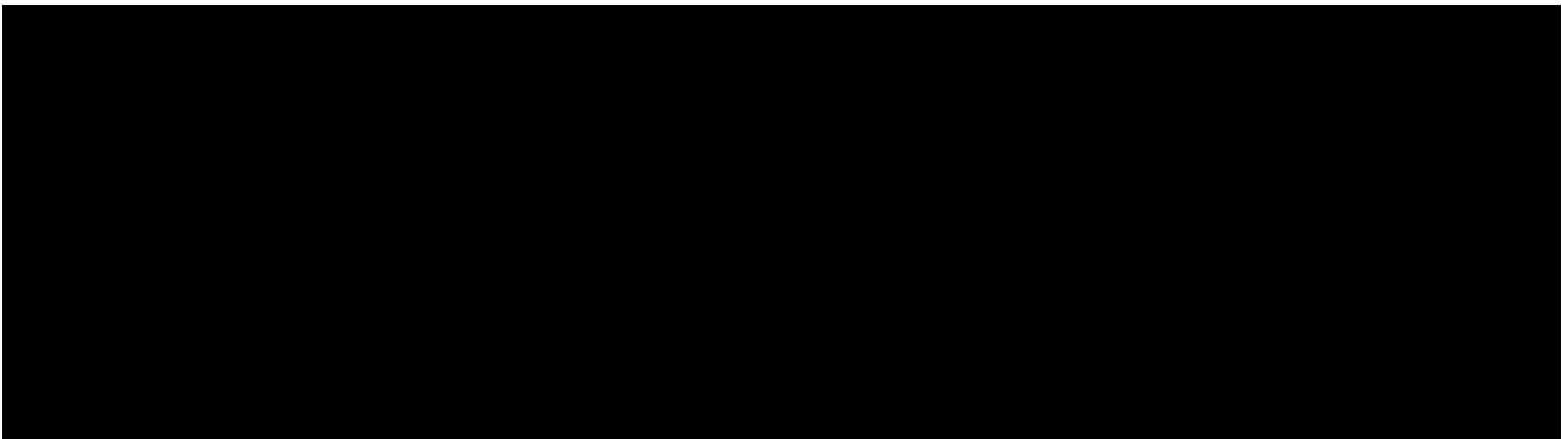
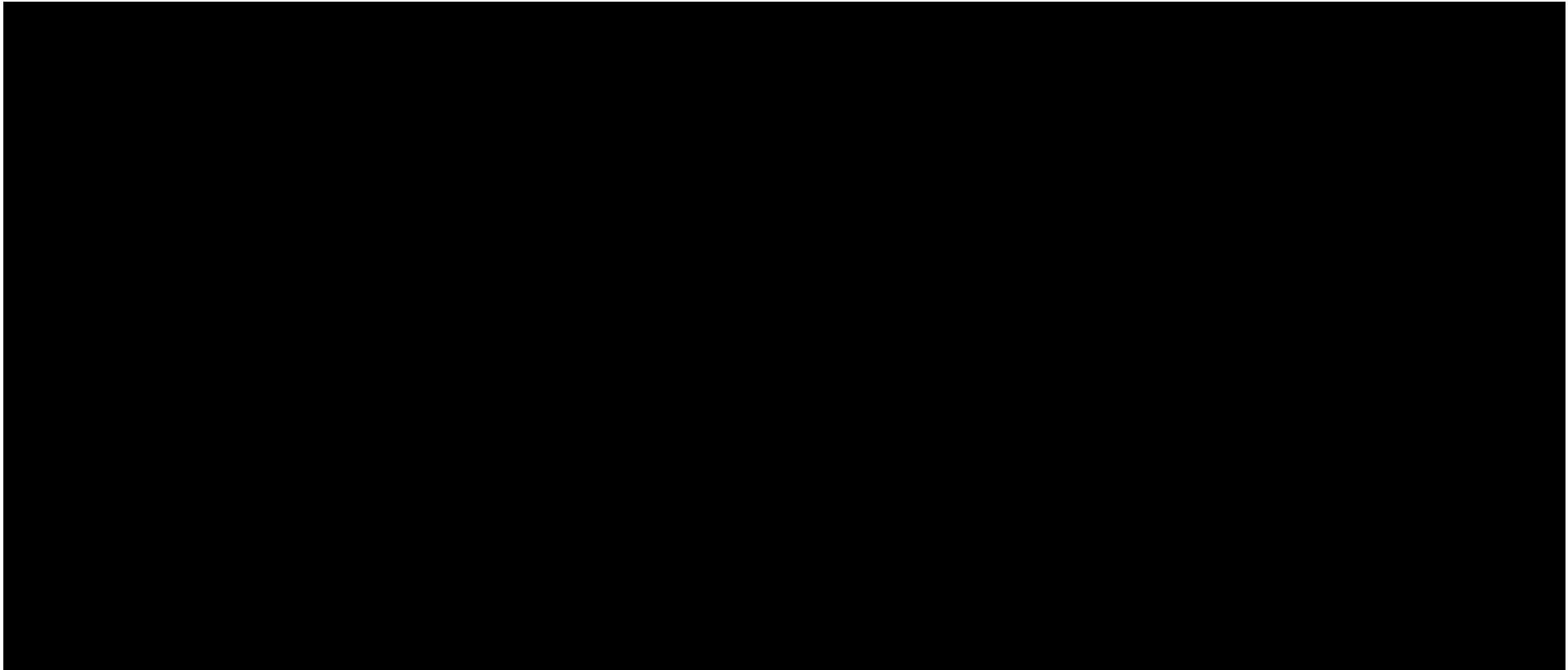
A large black rectangular area redacting the content of Table 17.

Tabela 18.
Scenariusze analizy podstawowej i analizy wrażliwości

A large black rectangular area redacting the content of Table 18.



2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków 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

Wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę dane ze Sprawozdania NFZ za 2023 r. Uwzględniono koszty stosowanej substancji oraz koszty diagnostyki, hospitalizacji oraz porad ambulatoryjnych związanych z wykonaniem programu. Wydatki budżetowe wynoszą około 10,2 mln PLN.

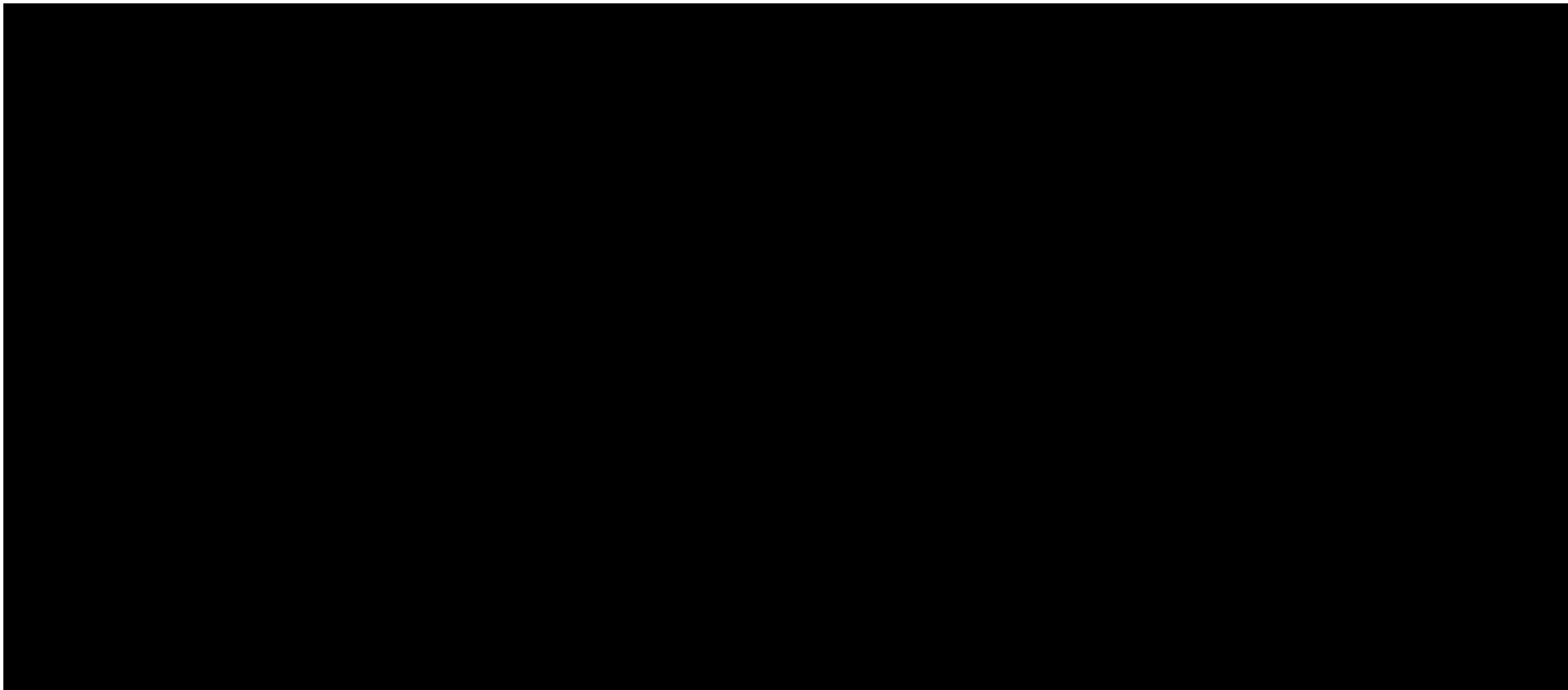
Składowa wydatków stanowiąca refundację ceny wnioskowanej technologii medycznej (koszt leku SAT), zgodnie ze *Sprawozdaniem NFZ* wynosi około 10 mln (satralizumab zastosowano u 72 chorych w całym roku 2023) [Sprawozdanie NFZ za 2023 r.]. Prawdopodobnie ta wartość jest wyższa w momencie składania wniosku, w związku z populacją wskazaną w rozdziale 2.5.3, która jest wyższa niż ta zgodna ze Sprawozdaniem NFZ za 2023.

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 (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

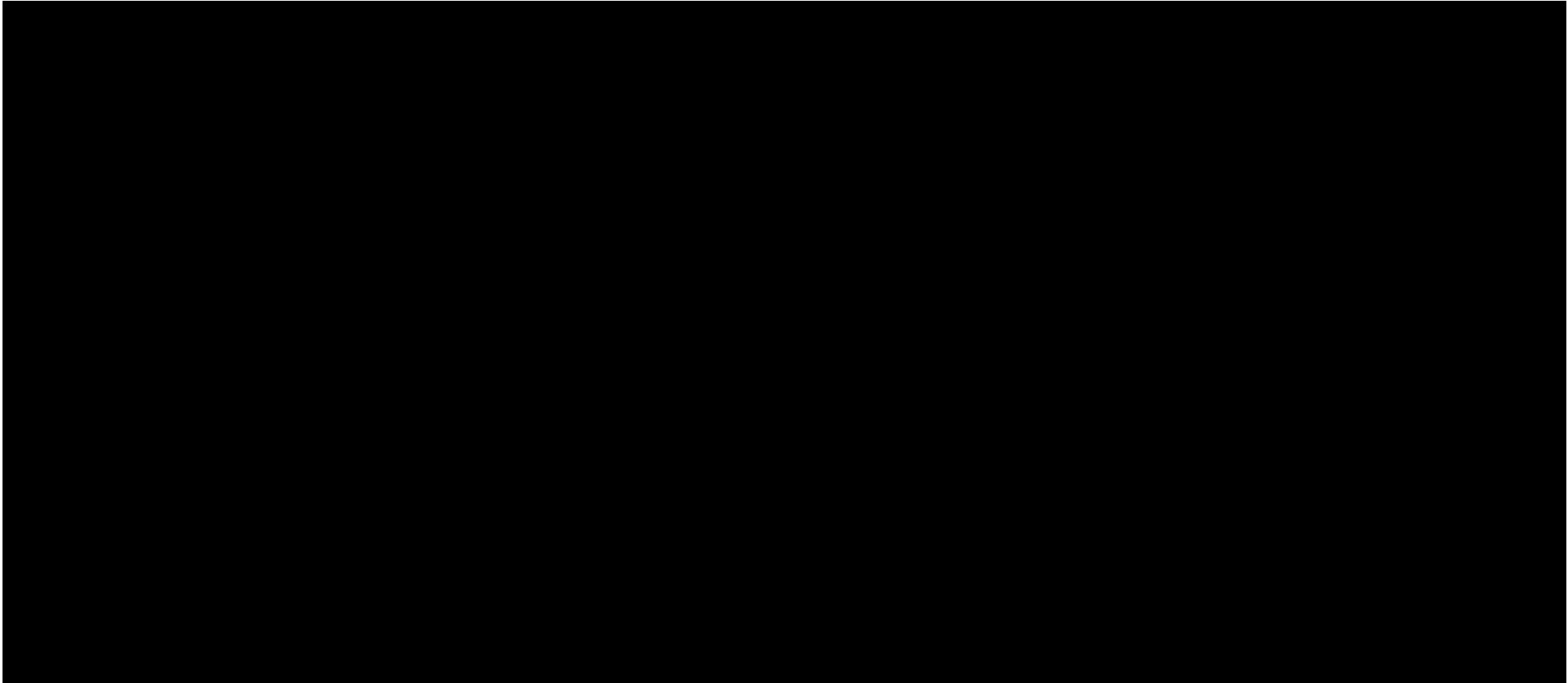
Tabela 19.

Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS



* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Tabela 20.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej i z uwzględnieniem RSS



* biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Tabela 21.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS

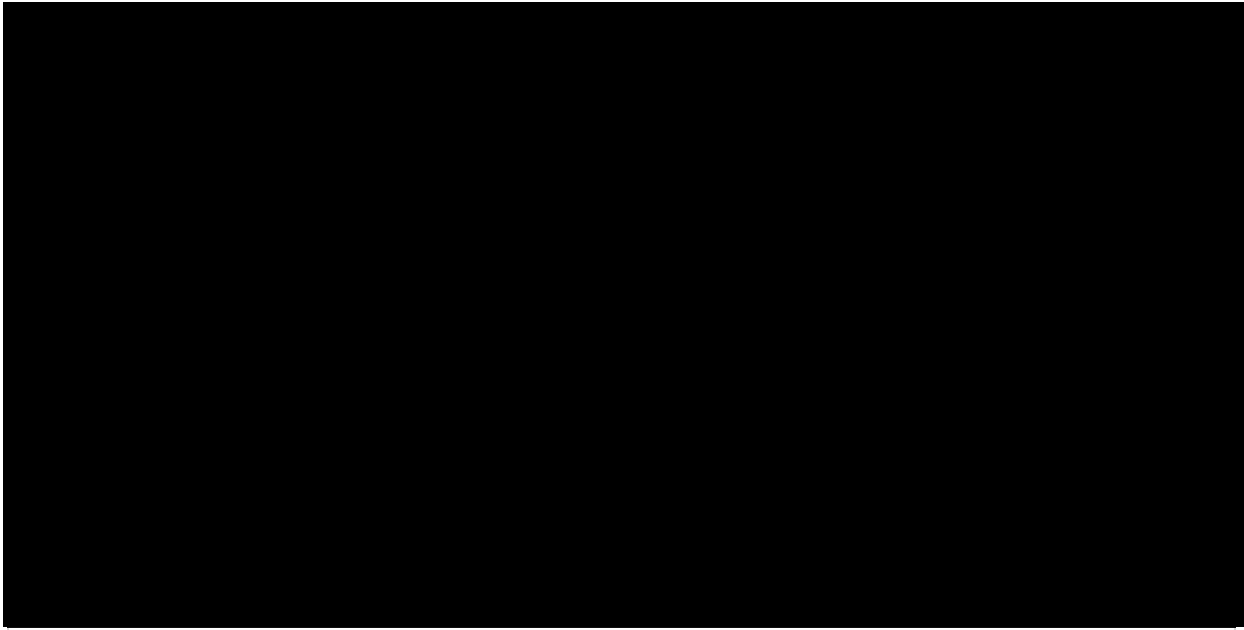
Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny	1 381 676,89	1 193 313,35	57 669 183,28	54 762 697,14	56 287 506,39	53 569 383,79
prawdopodobny	1 780 806,88	1 559 401,62	74 422 212,67	71 646 367,12	72 641 405,79	70 086 965,51
maksymalny	2 752 960,32	2 453 501,61	115 237 912,75	112 890 388,23	112 484 952,42	110 436 886,63
Koszty inne						
minimalny	1 014 855,66	1 057 145,28	11 443,10	30 919,50	-1 003 412,56	-1 026 225,78
prawdopodobny	1 306 648,83	1 378 038,30	19 071,84	51 532,50	-1 287 576,99	-1 326 505,80
maksymalny	2 017 208,26	2 161 391,97	38 143,68	103 065,00	-1 979 064,58	-2 058 326,97

Tabela 22.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok	1 rok	2 rok
Całkowite koszty różniące*						
minimalny	1 419 169,83	1 231 866,85	57 669 957,81	54 825 435,93	56 250 787,98	53 593 569,08
prawdopodobny	1 829 080,67	1 609 666,48	74 423 503,55	71 727 436,51	72 594 422,88	70 117 770,03
maksymalny	2 827 487,16	2 532 356,78	115 240 494,51	113 016 128,60	112 413 007,34	110 483 771,82
Koszty inne						
minimalny	1 021 300,97	1 063 399,21	11 484,51	31 054,88	-1 009 816,46	-1 032 344,33
prawdopodobny	1 314 948,25	1 386 198,31	19 140,84	51 758,14	-1 295 807,40	-1 334 440,17
maksymalny	2 030 022,84	2 174 205,87	38 281,68	103 516,28	-1 991 741,15	-2 070 689,59

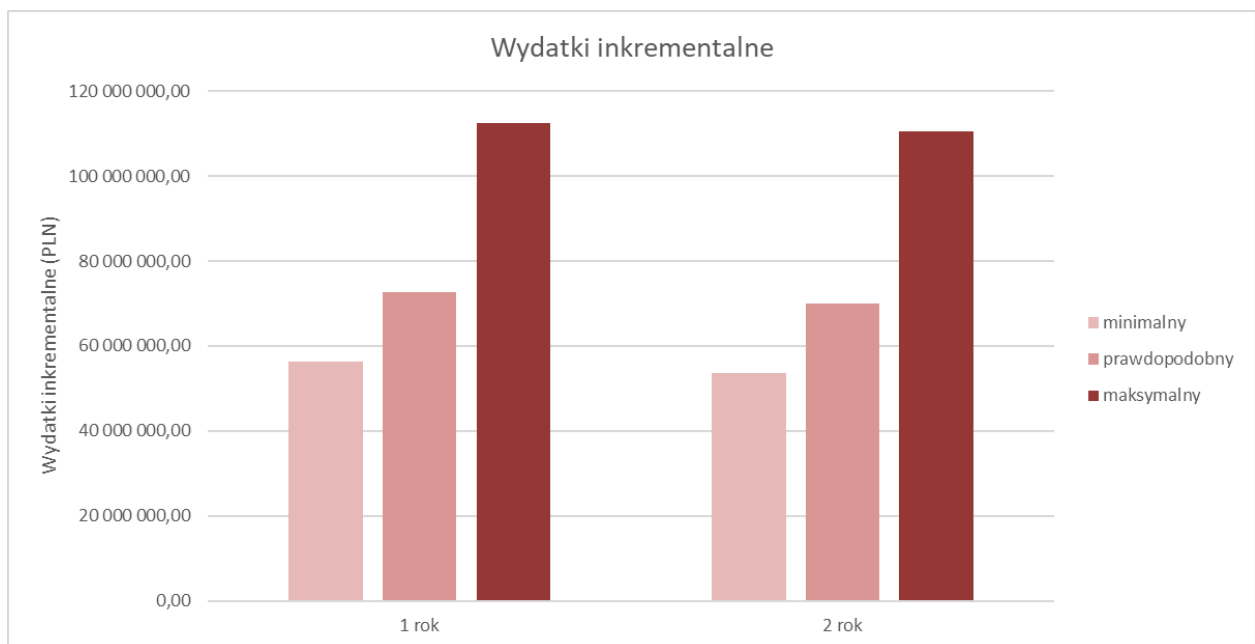
Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono również graficznie na poniższym wykresie.

Rysunek 2.

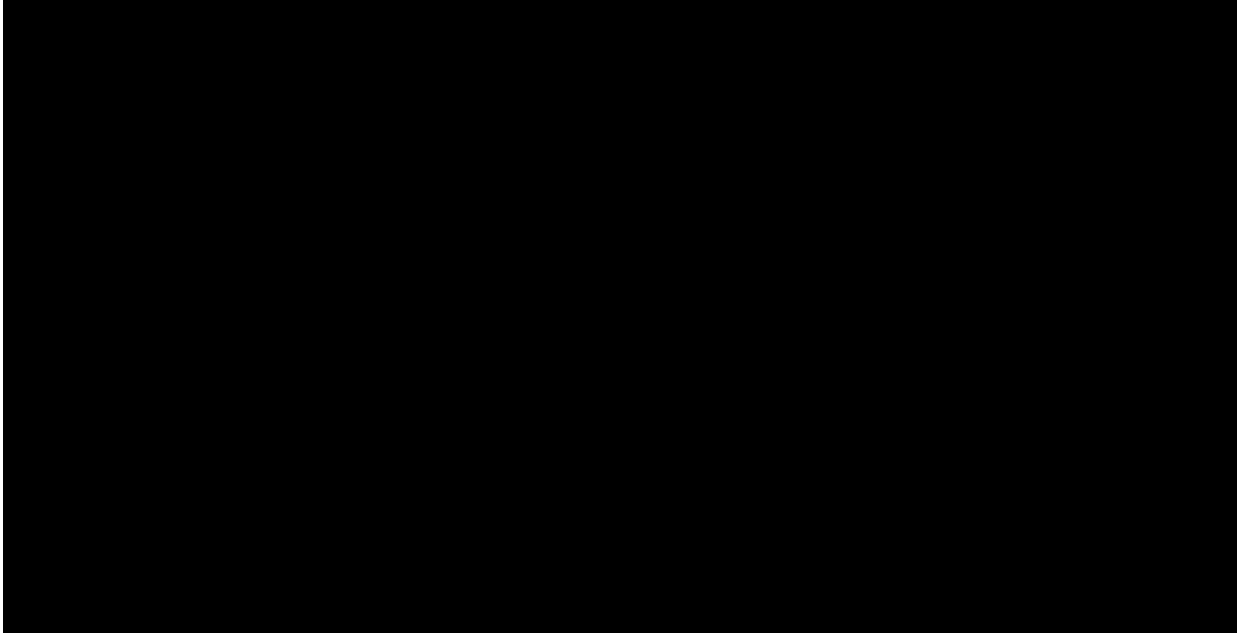


Rysunek 3.

Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różnice koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego, w wersji bez RSS (PLN)

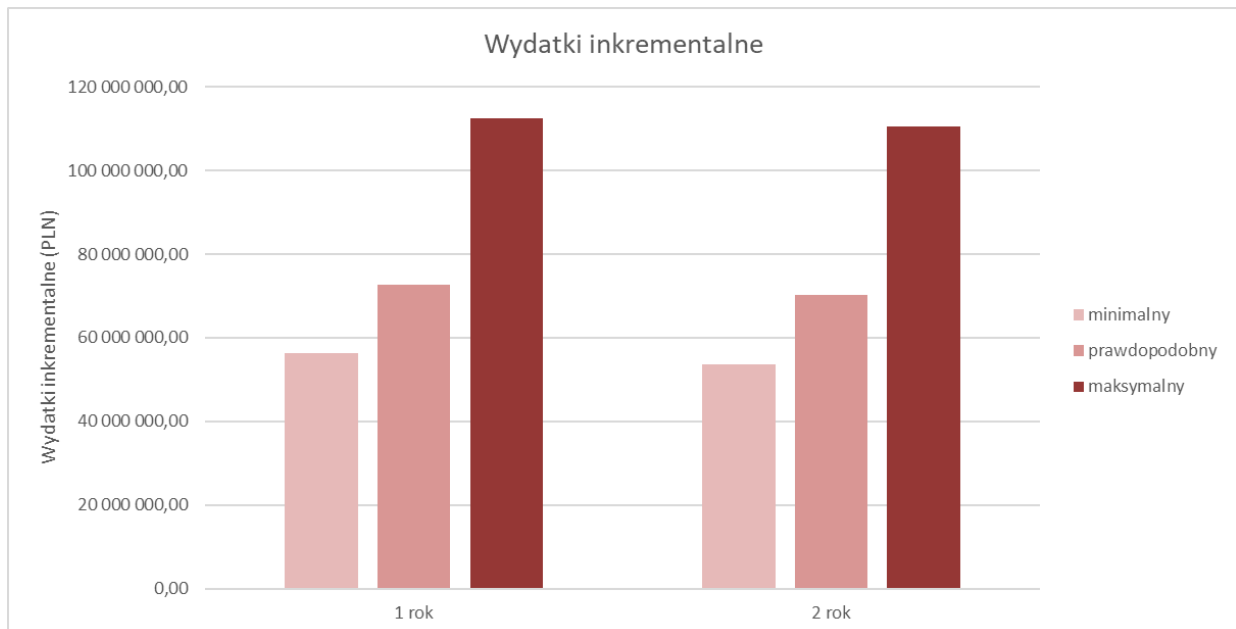


Rysunek 4.



Rysunek 5.

Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różnice koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej, w wersji bez RSS (PLN)



3. Analiza wrażliwości i analiza scenariuszy

Analizę wrażliwości przeprowadzono dla parametrów, które w największym stopniu obarczone 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.

W analizie wrażliwości uwzględniono ponadto alternatywne założenia dla modelowania krzywej wejścia chorych do leczenia i ustalenia się równowagi rynkowej (analiza scenariuszy).

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

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższych tabelach. Wyniki zaprezentowane w perspektywie płatnika publicznego. Wyniki w perspektywie wspólnej jedynie nieznacznie odbiegają od tych w perspektywie płatnika publicznego, nie zostały więc zaprezentowane w poniższych tabelach.

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

Tabela 23.

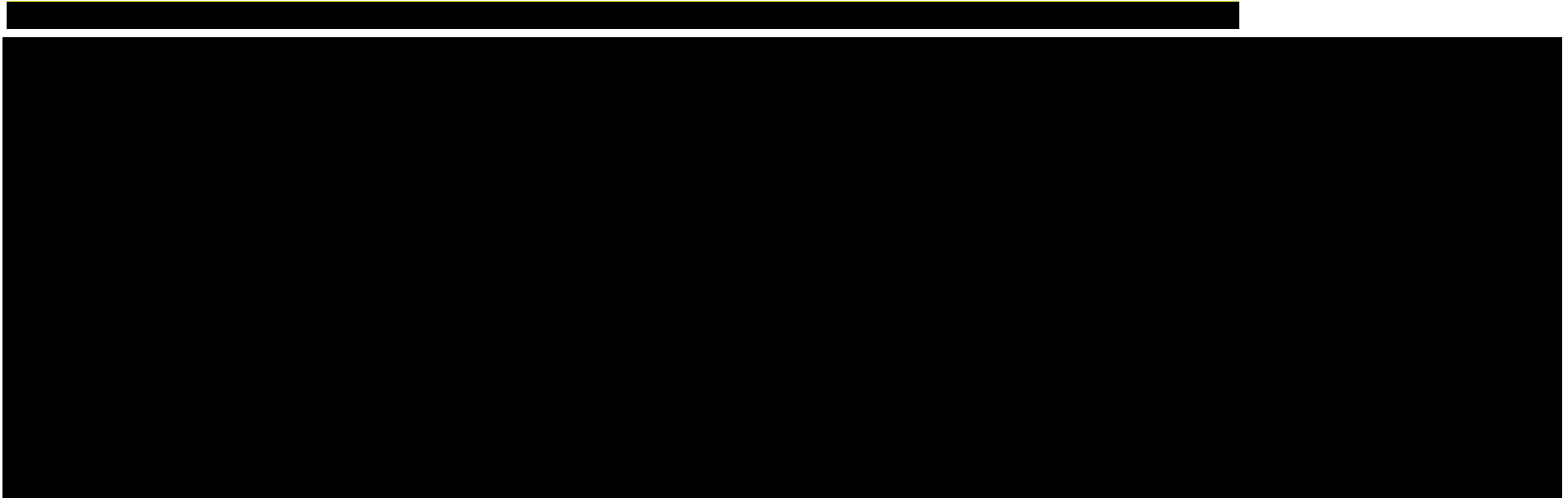
The content of Table 23 is completely redacted with a solid black box.

Tabela 24.

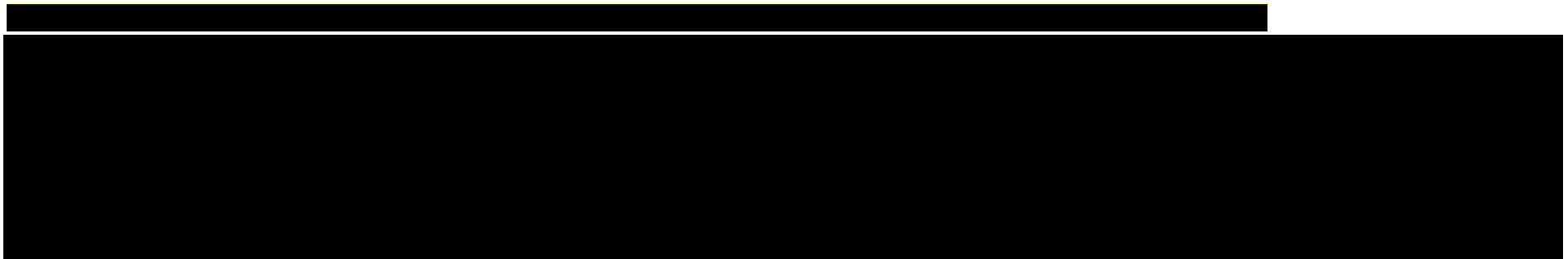
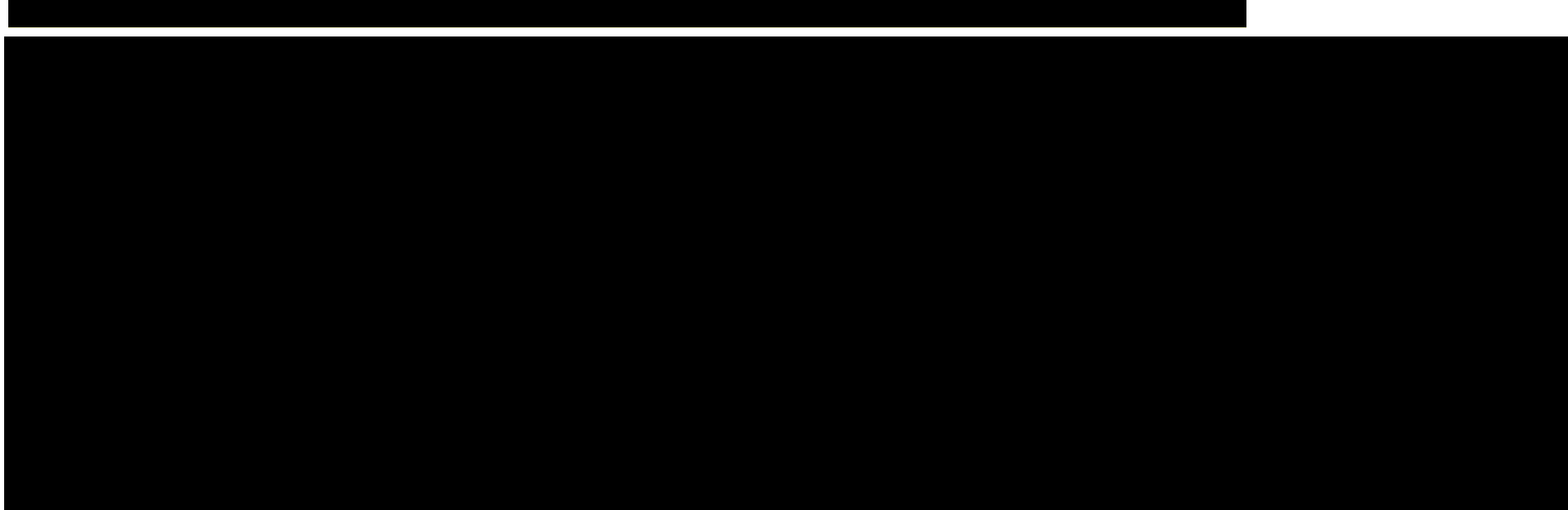
The content of Table 24 is completely redacted with a solid black box.



Tabela 25.



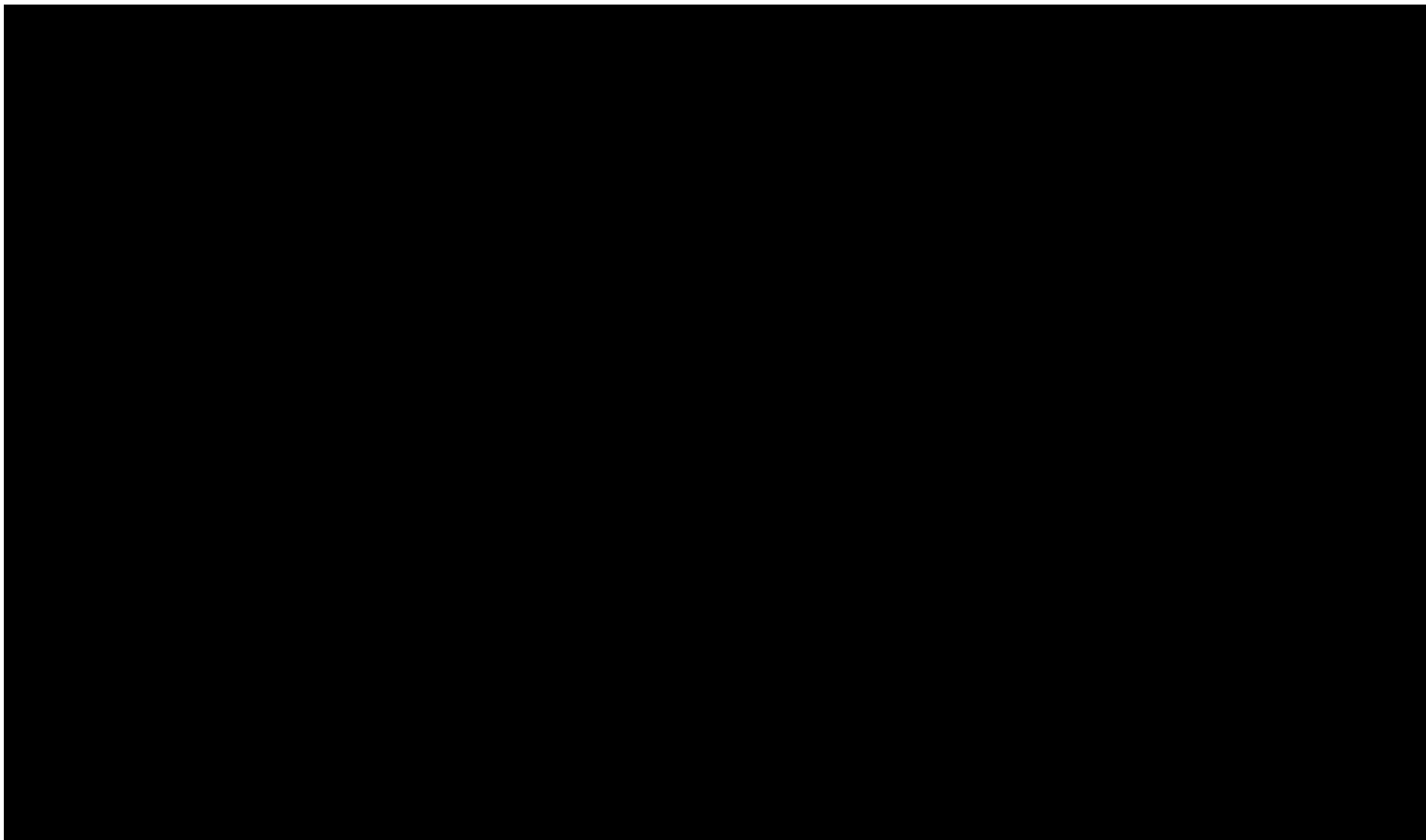


Tabela 26.

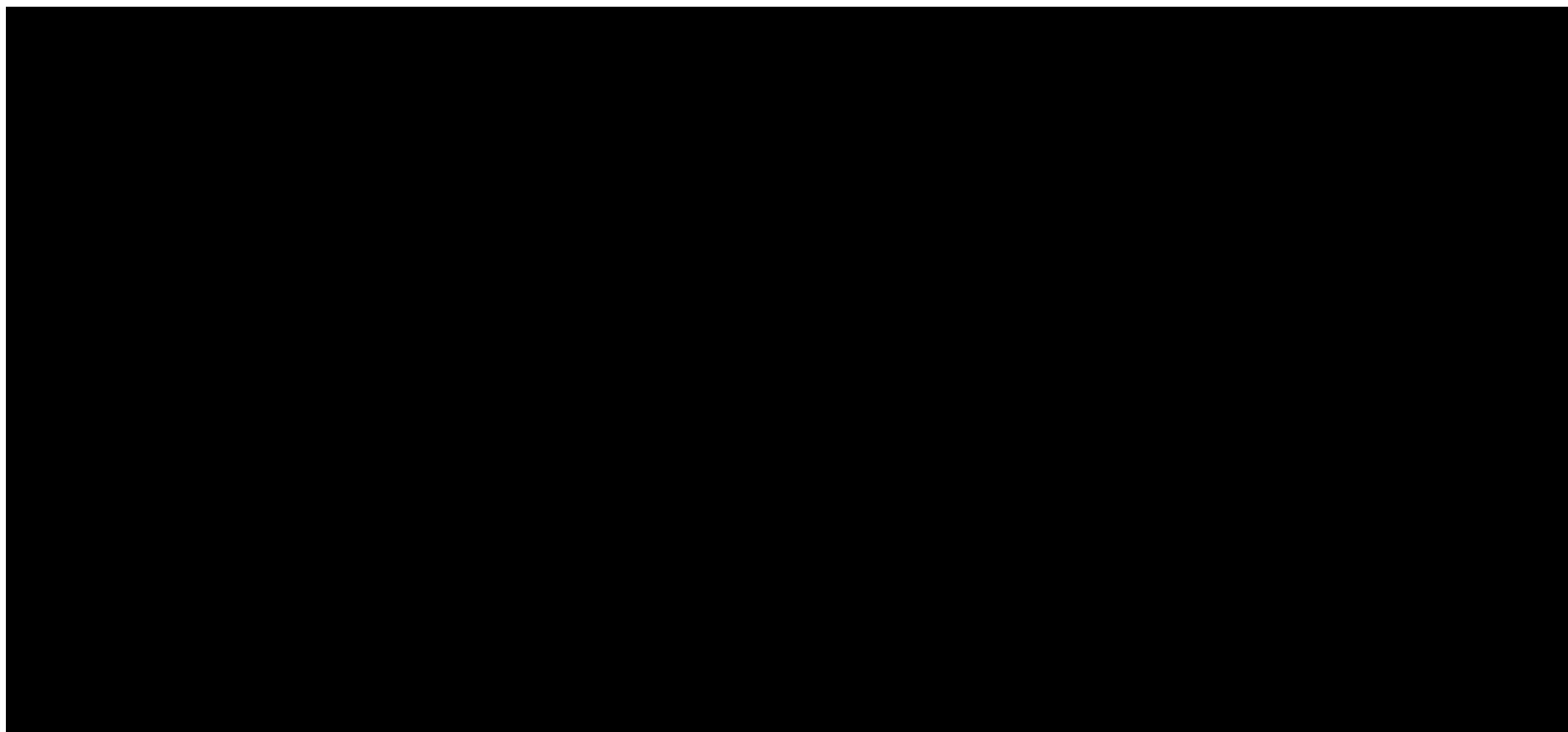


Tabela 27.



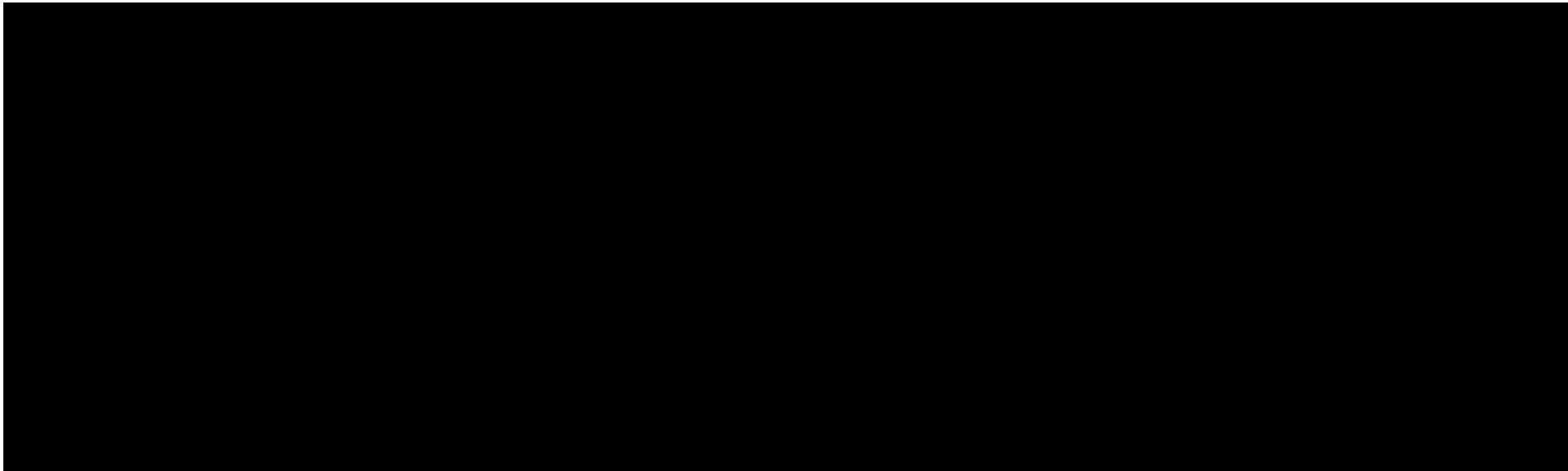
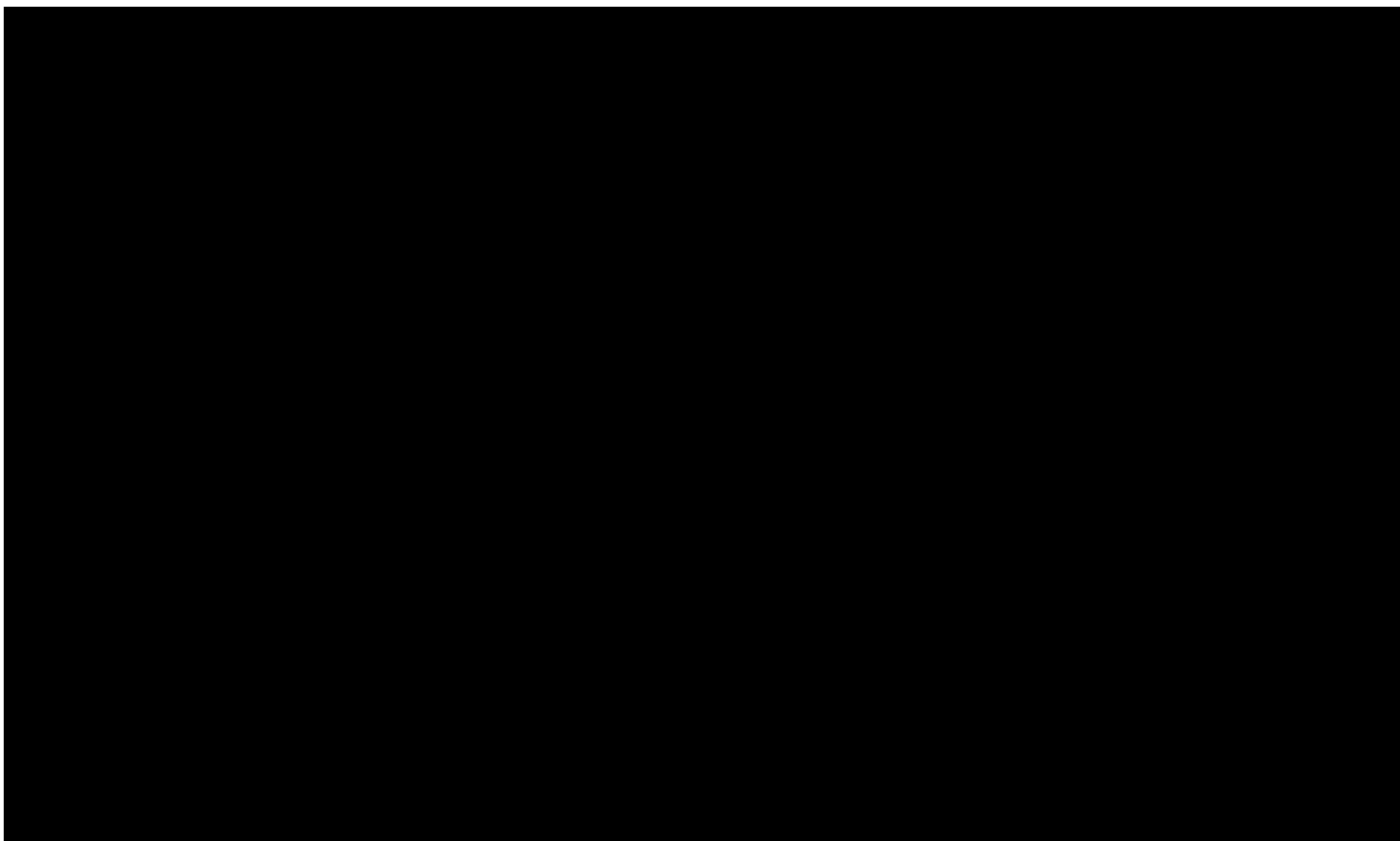


Tabela 28.





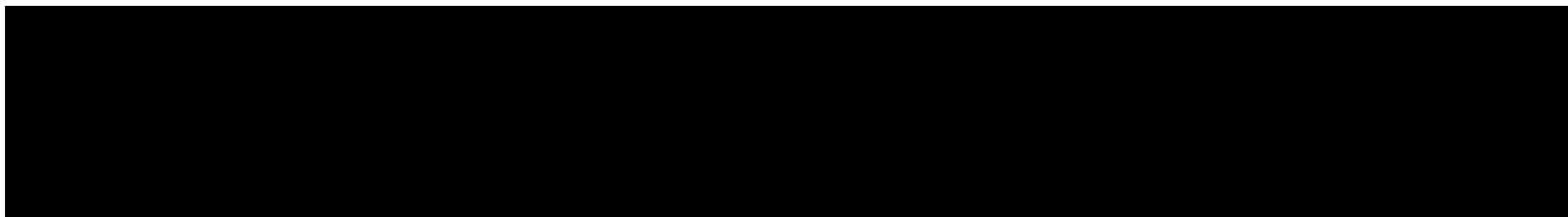
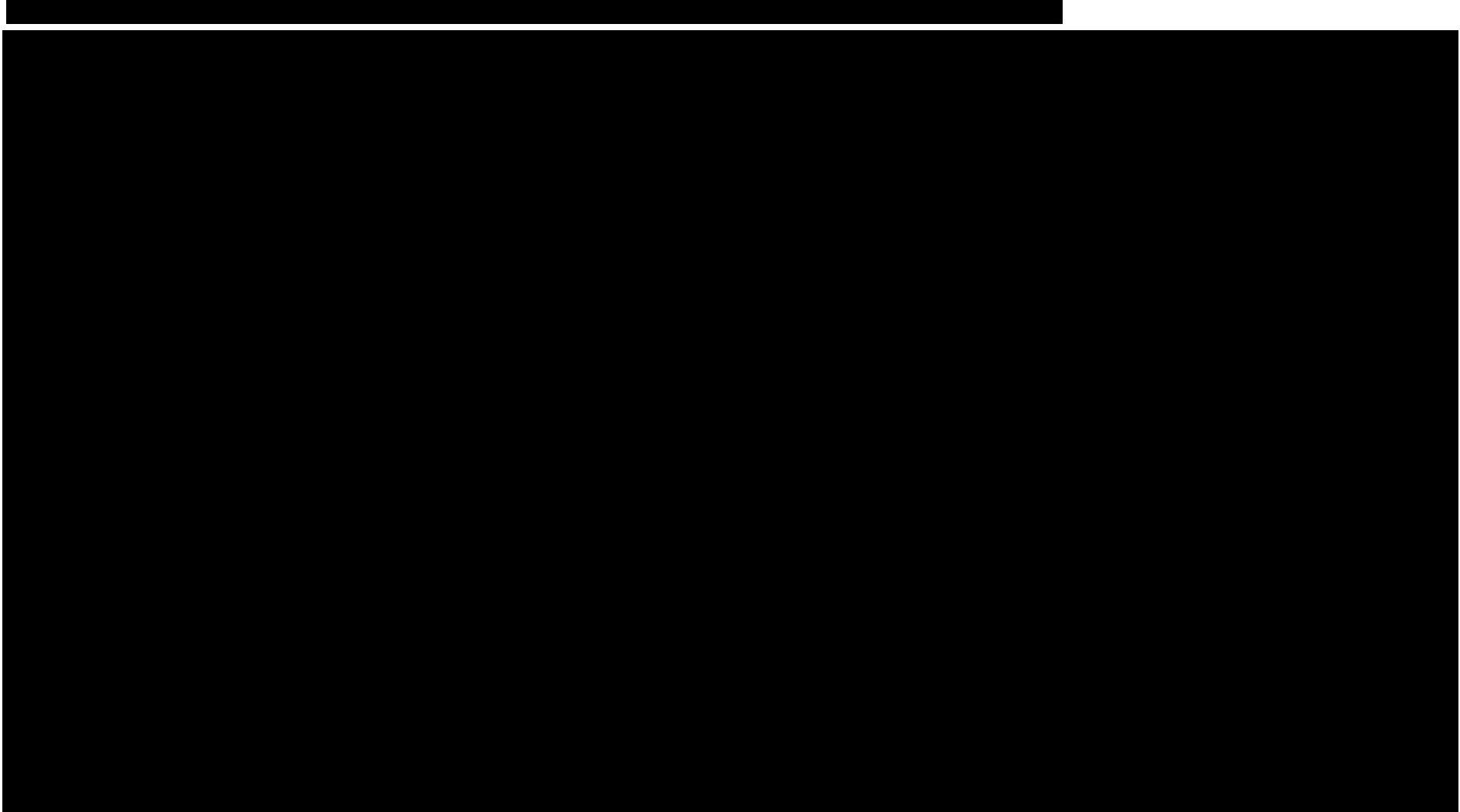
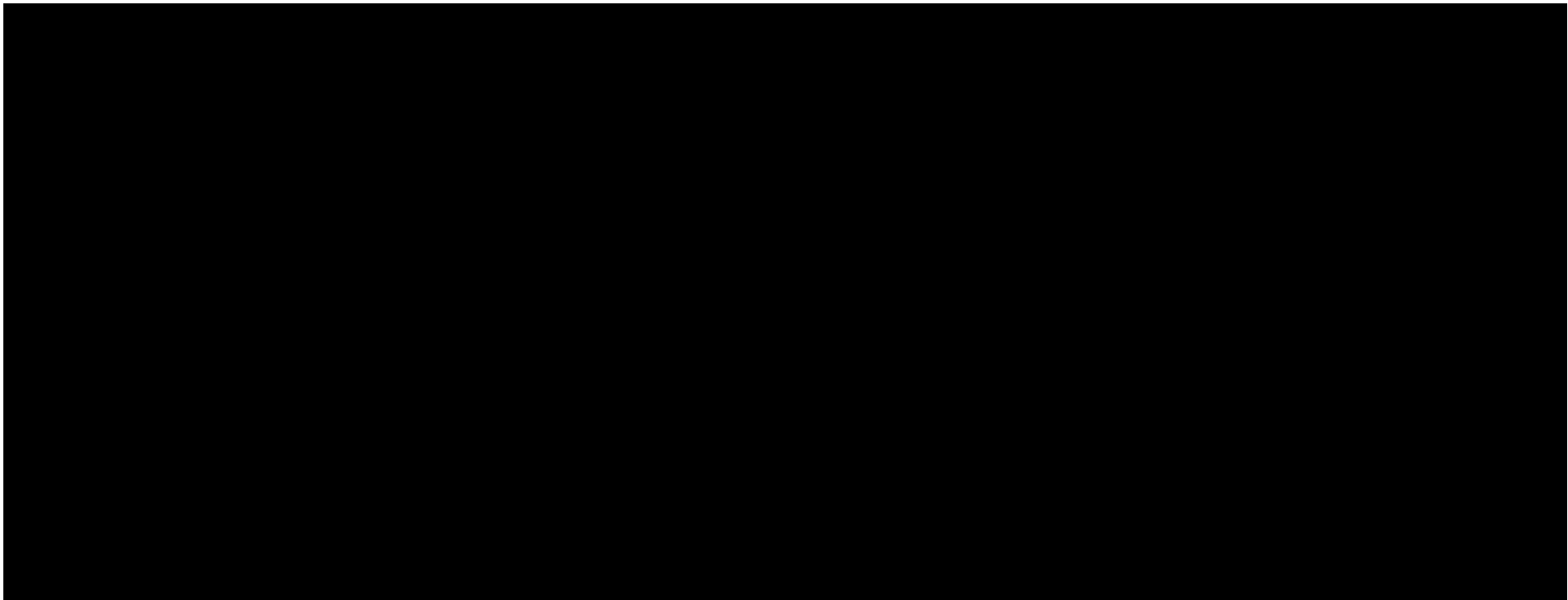


Tabela 29.

Tabela 30.





4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Enspryng® (satralizumab) w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego, w ramach programu lekowego, 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. Przedłużenie refundacji 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 rokowaniem. Praktyka kliniczna leczenia chorych na NMOSD AQP4+ w Polsce opiera się na zapisach wprowadzonego w listopadzie 2022 r. Programu lekowego B.138.FM „Leczenie pacjentów ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (NMOSD) (ICD-10: G36.0)”, w ramach którego objęty finansowaniem ze środków publicznych jest satralizumab.

Objęcie satralizumabu refundacją było wysoce oczekiwane przez ekspertów klinicznych, wskazujących na satralizumab jako na lek działający przyczynowo, umożliwiający kontrolę choroby, przy jednoczesnym dobrym profilu bezpieczeństwa. Satralizumab jest jedynym lekiem finansowanym w ramach Programu lekowego B.138., a więc jego stosowanie w sposób realny wpływa na podejmowane decyzje terapeutyczne i poprawę stanu zdrowia chorych. Satralizumab jest lekiem wysoce skutecznym w leczeniu NMOSD, także w terapii przewlekłej. Stosowanie satralizumabu ma na celu ograniczenie występowania rzutów oraz polepszenie jakości życia chorych, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*.

Z uwagi na wykazaną skuteczność satralizumabu u chorych na NMOSD istnieje znacząca potrzeba medyczna przedłużenia jego finansowania ze środków publicznych w Polsce w leczeniu tej jednostki chorobowej w ramach Programu lekowego.

Choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego należą do grupy chorób rzadkich o zazwyczaj ciężkim naturalnym przebiegu, których specyfikacją są częste nawroty. Skutkiem kolejnych rzutów choroby jest narastanie objawów rezydualnych, które

w szybkim czasie powodują powstawanie niepełnosprawności przez co nieleczone NMOSD niesie ze sobą znaczne ryzyko ciężkiego kalectwa lub śmierci [Traboulosee 2020]. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami utraty produktywności. Koszty te są, tym wyższe im mniej skutecznie prowadzona jest terapia tych chorych. Objawy najczęściej pojawiające się w przebiegu NMOSD przekładają się na zmniejszoną zdolność do pracy zawodowej lub wykonywania codziennych czynności. Chorzy, którzy nie mieliby zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia eskalowałyby koszty społeczne. Przedłużenie refundacji SAT pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną. Dodatkowo, zgodnie z wynikami badania ankietowego przeprowadzonego wśród chorych z NMOSD, wpływ NMO na QoL wykracza poza obciążenie fizyczne i emocjonalne i obejmuje także duże obciążenie finansowe, związane m.in. z kosztami podróży, hospitalizacji i opieki specjalistycznej [Beekman 2019].

Zgodnie z informacjami opublikowanymi przez EMA, najwłaściwszym leczeniem, które powinno zostać wdrożone jak najszybciej jest leczenie prewencyjne rozumiane jako terapia immunosupresyjna i leczenie biologiczne, jednak należy mieć na uwadze, że leki immunosupresyjne nie są zarejestrowane w leczeniu NMOSD, a więc ich działanie nie jest ukierunkowane na mechanizmy odpowiadające za obraz kliniczny choroby. Dodatkowo w Polsce chorzy nie mają dostępu do nowoczesnych terapii biologicznych, ponieważ terapie te nie są refundowane we wnioskowanym wskazaniu (ekulizumab jest lekiem zarejestrowanym w leczeniu NMOSD, ale aktualnie nierefundowanym w Polsce, podobnie rawulizumab, który w 2023 r. został zarejestrowany w leczeniu dorosłych chorych na NMOSD z dodatnim wynikiem badania na obecność przeciwciał przeciw akwaporynie 4 - lek ten również nie jest aktualnie finansowany w populacji docelowej dla satralizumabu w Polsce ani nie toczy się dla niego proces refundacyjny). Decyzja dotycząca przedłużenia refundacji produktu Enspryng® w ramach *Wykazu leków refundowanych* dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem pacjentów spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Na podstawie *Analizy klinicznej* stwierdzić można, że wnioskowana technologia wydłuża czas przeżycia bez rzutu choroby, generuje więc istotne klinicznie dodatkowe efekty zdrowotne, w porównaniu do obecnie stosowanego w praktyce klinicznej leczenia podtrzymującego oraz leczenia rzutu. W zakresie profilu bezpieczeństwa stwierdzono brak istotnych różnic pomiędzy wnioskowaną technologią a komparatorem.

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 31.
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.	Tak
Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:	
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
Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	
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
Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:	
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

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od stycznia 2025 do grudnia 2026 roku.

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu Enspryng® (satralizumab) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności refundacyjnej: lek dostępny w programie lekowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją chorzy ze spektrum chorób zapalenia nerwów wzrokowych i rdzenia kręgowego (ang. *neuromyelitis optica spectrum disorder*, NMOSD) w wieku 12 lat i starsi, u których wykryto obecność przeciwciał IgG przeciwko akwaporynie 4 (AQP4-IgG).

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.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących ze stanowiska ekspertów klinicznych [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę].

Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi przedłużenie refundacji technologii wnioskowanej (zmiana sposobu refundacji). Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta. Analizę wykonano dla okresu 2 lat, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Uwzględniono koszty leków, koszty przepisania i podania leków, koszty leczenia podtrzymującego, koszty leczenia po niepowodzeniu leczenia podtrzymującego, koszt leczenia rzutów choroby, koszty leczenia w stanach, koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego, koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej. Cenę zbytu netto satralizumabu 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 przedłużenie refundacji leku wysoce skutecznego w leczeniu NMOSD oraz wysoce oczekiwanego przez ekspertów klinicznych.

[REDACTED]

W konsekwencji finansowanie leku Enspryng zapewni chorym na choroby ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego dostęp do jedyne skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.

[REDACTED]

Mając na uwadze racjonalizację środków w ochronie zdrowia oraz wychodząc naprzeciw oczekiwaniom Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Funduszu Zdrowia w zakresie refundacji leków, Zamawiający proponuje zawarcie umowy podziału ryzyka (RSS).

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Enspryng® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej 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 Enspryng® przyczyni się do znaczącej poprawy sytuacji chorych z chorobami ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego w Polsce.

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii medycznej w ramach istniejącej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że lek Enspryng® finansowany będzie w ramach obecnie istniejącej grupy limitowej. Obecnie satralizumab jest finansowany w analizowanym wskazaniu, w ramach *Funduszu Medycznego*, w grupie limitowej 1260.0, *Satralizumab* [Wykaz leków refundowanych]. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono finansowanie leku w istniejącej obecnie grupie limitowej (1260.0, *Satralizumab*).

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

Tabela 32.

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 0.
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.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
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"> • z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), • bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka 	TAK
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> • 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) • 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) 	TAK, rozdział 8.1.

9. Spis tabel

Tabela 1. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana zgodnie z danymi epidemiologicznymi	16
Tabela 2. [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	17
Tabela 3. Populacja docelowa, wskazana we wniosku	19
Tabela 4. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana	21
Tabela 5. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	22
Tabela 6. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne	23
Tabela 7. Dawkowanie satralizumabu na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego	24
Tabela 8. Ceny leku uwzględnione w niniejszej analizie	25
Tabela 9. Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie podstawowej (PLN) w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej ...	25
Tabela 10. [REDACTED] [REDACTED]	28
Tabela 11. [REDACTED] [REDACTED]	29
Tabela 12. [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	29












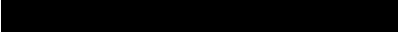














Tabela 13.		
	29
Tabela 14.		
	31
Tabela 15.		
	32
Tabela 16.	Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	34
Tabela 17.	Parametry testowane w analizie wrażliwości.....	35
Tabela 18.	Scenariusze analizy podstawowej i analizy wrażliwości.....	35
Tabela 19.	Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS.....	38
Tabela 20.	Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej i z uwzględnieniem RSS.....	39
Tabela 21.	Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS.....	40
Tabela 22.	Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS.....	41
Tabela 23.		
	45
Tabela 24.		
	45
Tabela 25.		
	46
Tabela 26.		
	48

Tabela 27.		
		49
Tabela 28.		
		50
Tabela 29.		
		52
Tabela 30.		
		53
Tabela 31.	Aspekty społeczne i etyczne	57
Tabela 32.	Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	63

10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet	15
Rysunek 2.  	42
Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy płatnika publicznego, w wersji bez RSS (PLN)	42
Rysunek 4.  	43
Rysunek 5. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) z perspektywy wspólnej, w wersji bez RSS (PLN)	43

11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna, Enspryng® (satralizumab) w leczeniu w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2024
Analiza kliniczna	Analiza kliniczna, Enspryng® (satralizumab) w leczeniu w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2024
Analiza problemu decyzyjnego	Analiza problemu decyzyjnego, Enspryng® (satralizumab) w leczeniu w leczeniu chorób ze spektrum zapalenia nerwów wzrokowych oraz rdzenia kręgowego – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2024
Beekman 2019	Beekman J., Keisler A., Pedraza O., i in., <i>Neuromyelitis optica spectrum disorder: Patient experience and quality of life</i> . <i>Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm</i> 2019, 6 (4):e580, doi: 10.1212/nxi.0000000000000580.
ChPL Enspryng®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Enspryng®, https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/enspryng-epar-product-information_pl.pdf (data dostępu: 15.03.2024)
Dane GUS	Główny Urząd Statystyczny, Prognoza ludności na lata 2023-2060 https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/prognoza-ludnosci/prognoza-ludnosci-na-lata-2023-2060,11,1.html
Dane od Wnioskodawcy	Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej, mechanizmu podziału ryzyka, a także dane w modelu globalnym dotyczące danych źródłowych i oszacowań w zakresie modelowania użyteczności, prawdopodobieństw przejść oraz danych dotyczących dyskontynuacji leczenia satralizumabem
Dane refundacyjne NFZ	NFZ, Komunikaty DGL – Wartość refundacji cen leków według kodów EAN za 2023 r.
EPAR Enspryng	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/enspryng-epar-public-assessment-report_en.pdf
PTSR 2024	Polskie Towarzystwo Stwardnienia Rozsianego, Fundusz Medyczny szansą dla chorych na NMOSD w Polsce? https://ptsr.org.pl/strona/165,fundusz-medyczny-szansa-dla-chorych-na-nmosd-w-polsce (dostęp: 10.04.2024 r)
Program lekowy B.29	Program lekowy „Leczenie stwardnienia rozsianego” (ICD-10: G35) regulowany załącznikiem B.29.
Program lekowy B.67	Program lekowy „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych” (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G 70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, M33.0, M33.1, M33.2) regulowany załącznikiem B.67.
Protokoły z posiedzeń 2023 – 2024	Protokoły z posiedzeń Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia Pacjentów ze Spektrum Zapalenia Nerwów Wzrokowych i Rdzenia Kręgowego, 2024, https://www.nfz.gov.pl/dla-swiaadczeniodawcy/zespoly-koordynacyjne/zespoly-koordynujace/zespol-koordynacyjny-ds-leczenia-pacjentow-ze-spektrum-zapalenia-nerwow-wzrokowych-i-rdzenia-kregowego-protokoly-z-posiedzen,214.html (data dostępu: 22.05.2024 r.)

Publikacja/Źródło danych	Referencje
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
Sprawozdanie NFZ za 2023 r.	Uchwała Nr 5/2024/IV z dnia 4 października 2023 r. w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2023 r., https://www.nfz.gov.pl/zarządzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-52024iv,6655.html (data dostępu: 10.04.2024 r.)
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 17 sierpnia 2023 r. o zmianie ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz niektórych innych ustaw Dz.U. 2023 poz. 1938
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 17 czerwca 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2024 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016
Zarządzenie ambulatoryjna opieka specjalistyczna	Zarządzenie Nr 57/2023/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 30 marca 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna
Zarządzenie chemioterapia	Zarządzenie Nr 10/2024/DGL Prezesa NFZ z dnia 26 stycznia 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie chemioterapia
Zarządzenie leczenie szpitalne	Zarządzenie nr 37/2024//DSOZ Prezesa NFZ z dnia 29 marca 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne.
Zarządzenie programy lekowe	Zarządzenie Nr 49/2024/DGL Prezesa NFZ z dnia 8 maja 2024 r. w zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe