



IGNORANTIA NOCET

Filsuvez[®] (Oleogel-S10) w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych

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:
Amryt GmbH

Warszawa, 31.10.2024 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 02-661
ul. Modra 90/111

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

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

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

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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana 31 października 2024 r. w związku z uwagami zawartymi w piśmie OT.423.0.5.2024.13.KD z dnia 26 września 2024 r. Pierwotnie analiza została zakończona 26 kwietnia 2024 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none">⊗ Koncepcja analizy;⊗ Kontrola jakości;
[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;⊗ Wnioski końcowe

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 Amryt GmbH, 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	22
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	26
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....	26
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją.....	27
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach.....	27
2.6. Analiza kosztów	28

2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej.....	29
2.6.2. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej.....	31
2.6.3. Modelowanie kosztów	32
2.6.4. Podsumowanie kosztów.....	35
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	36
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	41
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	41
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe	41
3. Analiza wrażliwości	45
4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	51
5. Aspekty etyczne i społeczne	51
6. Ograniczenia.....	53
7. Podsumowanie i wnioski końcowe	55
8. Załączniki	58
8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej...58	
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	59
8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej.....	61
9. Spis tabel	62
10. Spis rysunków	65
11. Bibliografia.....	66

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
b.d.	brak danych
BIA	ang. <i>budget impact analysis</i> – analiza wpływu na system ochrony zdrowia
CCM	ang. <i>current clinical management</i> - aktualne postępowanie kliniczne
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
DDEB	ang. <i>dominant dystrophic epidermolysis bullosa</i> - postać dystroficzna, dominująca pęcherzowego oddzielania się naskórka
DEB	ang. <i>dystrophic epidermolysis bullosa</i> - postać dystroficzna pęcherzowego oddzielania się naskórka
EAN	ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy
EB	ang. <i>epidermolysis bullosa</i> - pęcherzowe oddzielanie się naskórka
EBS	ang. <i>epidermolysis bullosa simplex</i> - postać prosta pęcherzowego oddzielania się naskórka
FIL	Filsuvez®
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HS	ang. <i>health state</i> – stan zdrowia
HTA	ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych
ICD-10	ang. <i>International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems</i> – Międzynarodowa Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych
IMiDz	Instytut Matki i Dziecka
IRQ	ang. <i>interquartile range</i> – rozstęp międzykwartyłowy
JEB	ang. <i>junctional epidermolysis bullosa</i> - postać graniczna pęcherzowego oddzielania się naskórka
JGP	Jednolite Grupy Pacjentów
KEB	ang. <i>Kindler epidermolysis bullosa</i> - postać Kindler'a pęcherzowego oddzielania się naskórka
KLRP-2	Kompleksowe Leczenie Ran Przewlekłych 2
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
PDD	ang. <i>prescribed daily dose</i> – przepisana dzienna dawka, najczęściej stosowana dobową dawką leku
PLN	polski złoty
POZ	podstawowa opieka zdrowotna

Skrót	Rozwinięcie
RDEB	ang. <i>recessive dystrophic epidermolysis bullosa</i> - postać dystroficzna, recesywna pęcherzowego oddzielania się naskórka
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka

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 Filsuvez® (Oleogel-S10) w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych.

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 z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka. Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy opatrunków oraz pomocniczych wyrobów medycznych stosowanych przy opatrywaniu ran nie może zostać uznane za satysfakcjonujące.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: 

 danych GUS (*GUS 2024, GUS Ludność Piramida*), badań epidemiologicznych i obserwacyjnych  oraz raportu *NICE HST28*.

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 Oleogel-S10 nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka stosowane jest aktualne postępowanie kliniczne, obejmujące opatrywanie ran wyłącznie przy użyciu opatrunków oraz pomocniczych

wyrobów medycznych. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka stosowany i finansowany ze środków publicznych będzie dodatkowo (poza opatrunkami) Oleogel-S10. 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 i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej.

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztu leków, kosztu opatrunków, kosztu przepisania i podania leków i opatrunków, kosztu chirurgii oraz kosztu wizyt szpitalnych.

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 płatnika publicznego. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

WYNIKI

Oszacowanie populacji

Wariant populacji	Liczebność w 1. roku refundacji	Liczebność w 2. roku refundacji
Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej*		
Minimalny		
Prawdopodobny		
Maksymalny		
Prognozowana łączna liczba chorych leczonych z wykorzystaniem leku Filsuvez®		
Minimalny		
Prawdopodobny		
Maksymalny		

*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych żelu Oleogel-S10 nastąpi wzrost wydatków płatnika publicznego w wariantcie z uwzględnieniem RSS oraz w wariantcie bez uwzględnienia RSS.

Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku refundacji	Wartość inkrementalna w 2. roku refundacji
Wydatki inkrementalne ogółem		
Minimalny		
Prawdopodobny		
Maksymalny		
Wydatki inkrementalne związane z ceną leku Filsuvez®		
Minimalny		
Prawdopodobny		
Maksymalny		

Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku refundacji	Wartość inkrementalna w 2. roku refundacji
Wydatki inkrementalne ogółem		
Minimalny	23 693 358	41 245 317
Prawdopodobny	30 801 365	53 085 811
Maksymalny	143 048 648	249 840 463
Wydatki inkrementalne związane z ceną leku Filsuvez®		
Minimalny	24 023 220	42 965 342
Prawdopodobny	31 230 186	55 314 422
Maksymalny	145 040 189	260 236 557

Wyniki przeprowadzonej jednokierunkowej analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy wskazują, że największy wpływ na wyniki analizy (zarówno w wersji z RSS jak i bez RSS) mają następujące parametry / scenariusze:

- ⊕ oszacowanie populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana oraz populacji docelowej na podstawie danych epidemiologicznych

[Redacted]

- ⊕ średnie dawkowanie FIL [REDACTED]
- ⊕ uwzględnienie wastage [REDACTED]
- ⊕ udziały Filsuvez® w populacji docelowej [REDACTED]
- ⊕ brak modelowania krzywej wejścia chorych do leczenia i ustalenia się równowagi rynkowej żelu Oleogel-S10 [REDACTED]
- ⊕ średnie koszty opatrunków oszacowane na podstawie Wykazu leków refundowanych (zmiana rocznych inkrementalnych kosztów różniących o od -12% do -0,65%).

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu żelu Oleogel-S10 (Filsuvez®) do *Wykazu leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej *leki refundowane dostępne w aptece na receptę*, wydawane świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować leczenie jedynie przy pomocy opatrunków oraz pomocniczych wyrobów medycznych stosowanych przy opatrywaniu ran teraz będą mogli skorzystać również z terapii żelem Filsuvez®.

Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w pierwszym roku refundacji z terapii żelem Oleogel-S10 skorzysta prawdopodobnie około [REDACTED] chorych, w drugim roku refundacji około [REDACTED] chorych. W konsekwencji finansowanie żelu Filsuvez® zapewni chorym z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. Będzie się to jednak wiązało ze wzrostem wydatków po stronie płatnika publicznego. Wzrost wydatków wynikać będzie z dodatkowych kosztów przeznaczonych na Oleogel-S10, w porównaniu z aktualnym postępowaniem klinicznym.

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Filsuvez® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej u chorych w wieku 6 miesięcy i więcej z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka w Polsce, 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 Filsuvez® przyczyni się do poprawy sytuacji chorych z dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka 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 żelu Oleogel-S10 (Filsuvez®) w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka. Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych żelu Oleogel-S10 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 [REDACTED] danych NFZ (*NFZ Otwarte Dane*), danych GUS (*GUS 2024, GUS Ludność Piramida*), badań epidemiologicznych i obserwacyjnych [REDACTED] oraz raportu *NICE HST28*.
 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 w ramach aktualnego postępowania klinicznego.
-

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 kwietnia 2024 r. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest brak alternatywnej technologii refundowanej w rozważanym wskazaniu, w związku z czym lek Filsuvez® powinien szybko osiągnąć zakładany udział w rynku.

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 publiczny¹).

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 tym, w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka stosowane jest aktualne postępowanie kliniczne, obejmujące opatrywanie ran wyłącznie przy użyciu opatrunków oraz pomocniczych wyrobów medycznych, tj. bandaży, opasek, przylepców, rękawów opatrunkowych, preparatów i płynów dezynfekcyjnych, igieł jednorazowego użytku, a także żywności specjalnego przeznaczenia medycznego i odzieży utrzymującej opatrunki.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której poza opatrunkami stosowany będzie Oleogel-S10. W scenariuszu tym technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka. Scenariusz nowy zakłada także, że lek będzie dostępny w aptece na receptę i wydawany świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej 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.

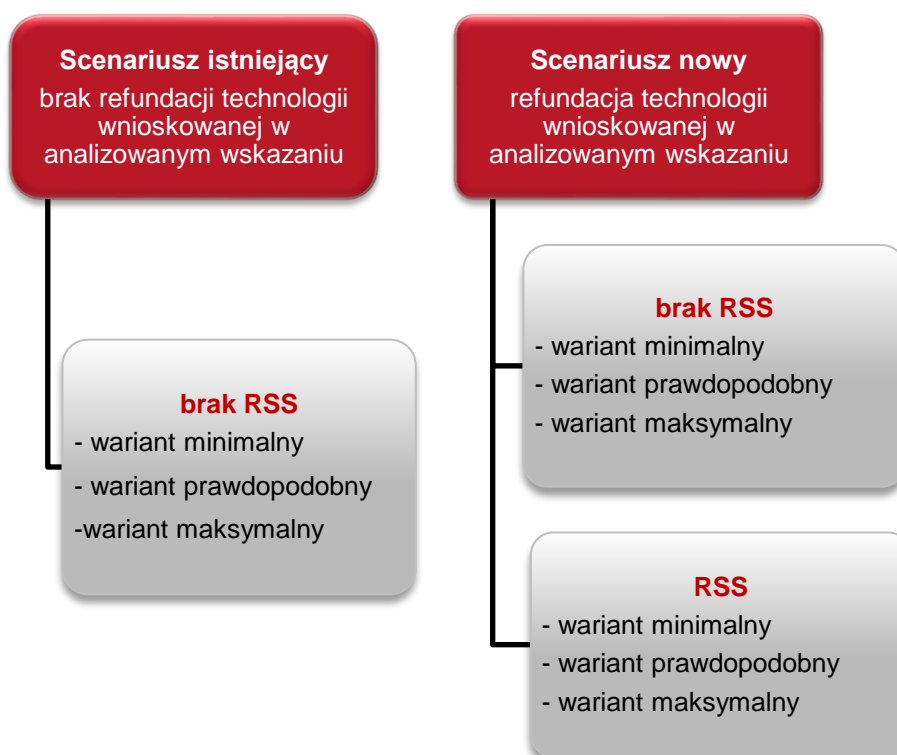
¹ Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

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

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 wnioskowanej technologii oraz raportu *AOTMiT Filsuvez 2023*.

Zgodnie z ChPL Filsuvez® Oleogel-S10 wskazany jest w leczeniu:

- ⊕ postaci dystroficznej pęcherzowego oddzielania się naskórka (DEB);
- ⊕ postaci granicznej pęcherzowego oddzielania się naskórka (JEB)

u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych. Jednakże poza JEB i RDEB, doraźnie terapia żelem Oleogel-S10 może znaleźć zastosowanie w uogólnionej postaci EBS i zespole Kindlera [AOTMiT Filsuvez 2023].

W związku z powyższym populację wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana zdefiniowano jako populację wszystkich chorych z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka (EB).

Żel Filsuvez® nie jest obecnie refundowany w leczeniu chorych z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka.

Oszacowanie w oparciu o dane epidemiologiczne

Informacje na temat epidemiologii EB są ograniczone, a szacowane występowanie tej choroby różni się znacząco między badaniami. Spośród wielu źródeł epidemiologicznych wykorzystano przede wszystkim badania prowadzone na dużej próbie statystycznej w populacji jak najbardziej zbliżonej do populacji polskiej (populacja europejska / państwa europejskiego).

W raporcie *EMA EPAR 2022* zebrano wyniki badań epidemiologicznych i otrzymano zakres chorobowości od 4,4 do 80 przypadków na milion. Oszacowano, że w całej Unii Europejskiej EB występuje w mniej niż 50 przypadków na milion, co odpowiada mniej niż 25 000 chorym na terenie UE.

W populacyjnym badaniu przekrojowym opisanym w publikacji *Has 2022* na podstawie szpitali akademickich, laboratoriów diagnostycznych i organizacji pacjentów zidentyfikowano 1 779 chorych z EB w Niemczech. Wykazano, że ogólna chorobowość i zachorowalność na EB w Niemczech wynosi kolejno 54,03 przypadków na milion i 45 na milion żywych urodzeń. Korzystając z modeli log-liniowych, oszacowaliśmy częstość występowania na 54 na milion dla wszystkich typów EB. Liczby te są porównywalne z wcześniej raportowanymi danymi z innych krajów.

W badaniu *Petrof 2022* wykorzystano dane dostępne dla 2 594 brytyjskich (Anglia i Walia) pacjentów z EB, którzy byli wpisani do krajowej bazy danych usług EB od 2002 do 2021 roku. Oszacowana chorobowość pęcherzowego oddzielania się naskórka wynosiła 34,8

przypadków na milion, natomiast zapadalność 67,8 przypadków na milion żywych urodzeń. Zapadalność na milion urodzeń zmniejszała się stopniowo w ciągu 19 badanych lat.

W badaniu epidemiologicznym *Fine 2016* wykryto, na podstawie 16 lat gromadzenia danych w Stanach Zjednoczonych, 3 157 przypadków pęcherzowego oddzielania się naskórka. Odpowiada to chorobowości równej 11,07 przypadków na milion oraz zapadalności równej 19,57 chorych na milion żywych urodzeń. Zaobserwowano również rosnący trend chorobowości EB na przestrzeni lat 1990 – 2002. Ponadto oszacowane parametry porównano z danymi z innych badań epidemiologicznych - chorobowość od 2,82 do 49 przypadków na milion (Japonia, Norwegia); zapadalność od 3,8 do 25 przypadków na milion żywych urodzeń (Japonia, Rumunia).

W oparciu o 15-letnią obserwację danych z francuskiego krajowego rejestru chorób rzadkich (BNDMR), oszacowano, że chorobowość EB we Francji wynosiła 12,7 chorych / milion, przy czym najczęściej rozpoznawanym typem był DEB (6,2 / milion), co kontrastuje z innymi krajami, w których dominuje EBS. Może to wynikać z faktu, że łagodniejsze przypadki EBS były rzadziej kierowane do ośrodków specjalistycznych. Oszacowaną chorobowość porównano z badaniami z innych państw - zakres od 4,0 do 54,0 chorych / milion (Japonia, Norwegia) [Bodemer 2022].

W poniższej tabeli zestawiono wszystkie odnalezione źródła chorobowości i zapadalności na pęcherzowe oddzielanie się naskórka.

Tabela 1.
Dostępne w literaturze parametry epidemiologiczne pęcherzowego oddzielania się naskórka

Publikacja	Badana populacja	Chorobowość na milion	Zapadalność na milion żywych urodzeń
Has 2022	Niemcy	54,03	45,00
Petrof 2022	Anglia i Walia	34,8	67,8
Fine 2016	Stany Zjednoczone	11,07	19,57
Bodemer 2022	Francja	12,7	b.d.
EMA EPAR 2022	Globalna	4,4 - 80	b.d.
Na podstawie Has 2022, Petrof 2022, Fine 2016, Bodemer 2022	Norwegia	54,0	b.d.
	Szkocja	49,0	b.d.
	Irlandia Północna	32,0	1,4
	Holandia	22,4	41,3
	Nowa Zelandia	19,5	b.d.
	Australia	10,3	b.d.
	Włochy	10,1	20,1
	Japonia	4,0 - 7,8	3,8
	Rumunia	4,42	25
	Słowenia	20	b.d.
	Iran	6,72	b.d.
	Kolumbia Brytyjska (Kanada)	9,9	b.d.
	Chorwacja	9,6	b.d.
	Południowa Afryka	2,82	b.d.

Oszacowanie w oparciu o dostępne polskie dane

Zgodnie z aktualnymi danymi z Instytutu Matki i Dziecka



Zgodnie z opinią ekspercką, przedstawioną w raporcie *AOTMiT Filsuvez 2023 w Polsce* 100 osób choruje na pęcherzowe oddzielanie się naskórka, w tym 70 chorych to dzieci i młodzież. Roczna liczba nowych zachorowań w Polsce w przypadku JEB szacowana jest na 1/100 000, a w przypadku RDEB 1/50 000 żywych urodzeń.

Otwarte Dane NFZ są kolejnym źródłem epidemiologii pęcherzowego oddzielania się naskórka w Polsce. W poniższej tabeli przedstawiono roczną chorobowość i zapadalność na EB. Warto zwrócić uwagę na zwiększającą się liczbę pacjentów w kolejnych latach oraz na niewielki odsetek udzielania świadczeń chorym z EB w Polsce (14 - 19%).

Tabela 2.
Pęcherzowe oddzielanie się naskórka w Polsce według *Otwartych Danych NFZ*

Roczna	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022
Chorobowość	1 232	1 367	1 477	1 612	1 744	1 821	1 900	2 017
Zapadalność	140	162	135	163	157	109	123	157
Liczba pacjentów z udzielonym świadczeniem, sprawozdanym do NFZ	286	325	296	341	344	286	340	387
Odsetek chorych z EB z udzielonym świadczeniem, sprawozdanym do NFZ	14,2%	16,1%	14,7%	16,9%	17,0%	14,2%	16,8%	19,1%

Na podstawie *Statystyk NFZ* dotyczących rozliczania świadczeń dedykowanych wyłącznie chorym z EB, tj. *Okresowa kontrola z zaopatrzeniem w niezbędne produkty* oraz *Produkty stosowane w leczeniu pęcherzowego oddzielania naskórka*, oszacowano, że liczba pacjentów z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka wynosiła w 2023 roku Polsce 70 - 72 chorych. Szczegółowe dane przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 3.
Pacjenci korzystający ze świadczeń dedykowanych pęcherzowemu oddzieleniu się naskórka według *Statystyk NFZ*

Świadczenie	Kod	Rok	Pacjentów	Rozliczonych świadczeń
Okresowa kontrola z zaopatrzeniem w niezbędne produkty	5.52.01.0001536	2019	62	110
		2020	64	202
		2021	63	187
		2022	75	211

Świadczenie	Kod	Rok	Pacjentów	Rozliczonych świadczeń
Produkty stosowane w leczeniu pęcherzowego oddzielania naskórka (lub podejrzenia tej choroby kodowanego rozpoznaniem ICD-10: Q81.9).	5.53.01.0001650	2023	70	191
		2019	61	146
		2020	67	252
		2021	64	207
		2022	77	224
		2023	72	203

Populacja uwzględniona w analizie

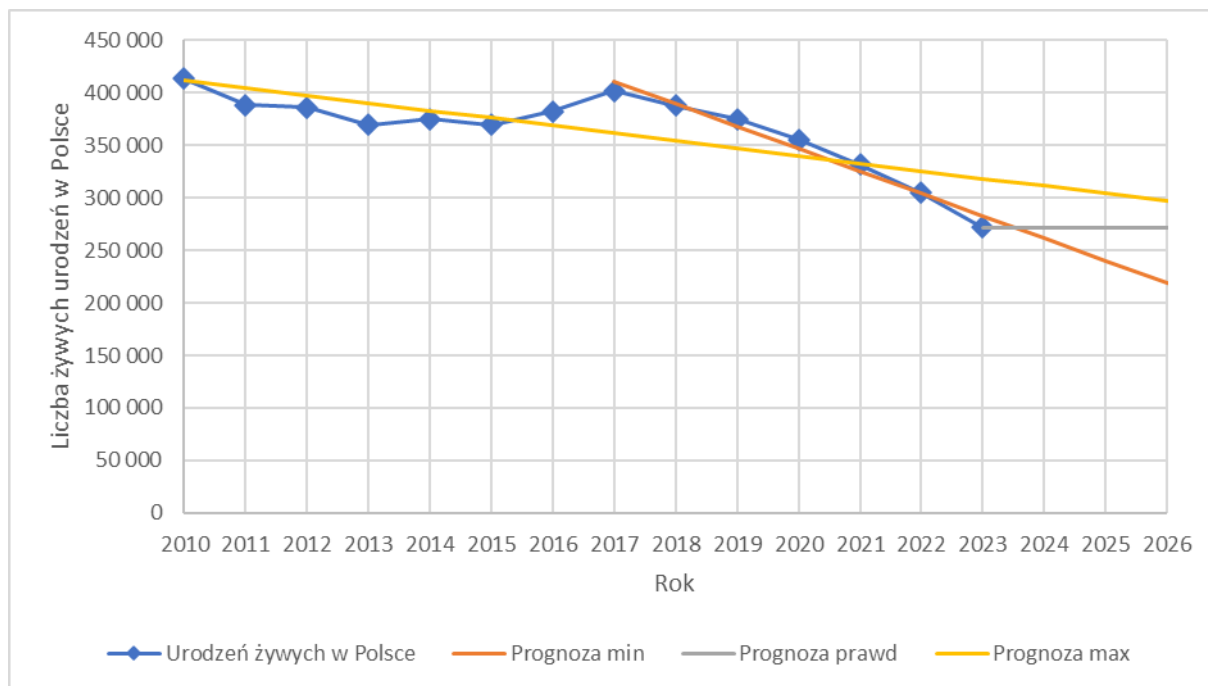
W analizie podstawowej wykorzystano dostępne polskie źródła danych, gdyż są one bardziej wiarygodne niż oszacowanie bazujące na europejskich/międzynarodowych danych epidemiologicznych. Badania epidemiologiczne dotyczące EB mogą niedokładnie odzwierciedlać sytuację polską, między innymi ze względu na odmienny poziom diagnostyki w poszczególnych krajach, czy dostęp do lekarzy specjalistów. Ograniczeniem parametrów epidemiologicznych jest również ich zmienność w czasie, co wykazano w badaniach *Petrof 2022* i *Fine 2016*, prowadzonych na przestrzeni kilkudziesięciu lat. Należy zatem uwzględnić (poza odpowiednią populacją i dużą próbą statystyczną) aktualność danych.

Zatem populację wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana, oszacowano, w zależności od wariantu, na podstawie:

- ⊗ minimalny - [REDACTED]
- ⊗ najbardziej prawdopodobny – [REDACTED] i
- ⊗ maksymalny - [REDACTED].

W celu określenia liczebności populacji w 2 roku BIA [REDACTED], wykorzystano liczbę nowych zachorowań na RDEB i JEB w ciągu roku w Polsce uwzględnioną w raporcie *AOTMiT Filsuvez 2023*. Wartość ta wynosi 30 zachorowań na milion urodzeń (1 chory z JEB / 100 000 urodzeń + 1 chory z RDEB / 50 000 urodzeń). Roczną liczbę urodzeń w Polsce oszacowano na podstawie analizy danych z biuletynu GUS [GUS 2024], skumulowanych w corocznych okresach (Rysunek 2.).

Rysunek 2.
Oszacowanie rocznej liczby urodzeń na podstawie biuletynu GUS 2024



W wariacie prawdopodobnym przyjęto wartość rocznej liczby urodzeń w 2023 roku. Do danych GUS dopasowano również trend liniowy, dotyczący lat 2017 – 2023 (przyjęty w wariacie minimalnym) oraz dotyczący całego dostępnego okresu, tj. lat 2010 – 2023 (przyjęty w wariacie maksymalnym).

Roczna liczba żywych urodzeń w 2 roku BIA została przyjęta jako prognozowana liczba urodzeń w 2025 roku w Polsce i oszacowano ją jako równą 240 050, 272 100 oraz 304 047 kolejno w wariacie minimalnym, prawdopodobnym oraz maksymalnym. Ostatecznie liczebność populacji w 2 roku BIA oszacowano jako sumę wartość przyjętej w 1 roku BIA oraz iloczynu zachorowalności na milion żywych urodzeń i rocznej liczby żywych urodzeń w Polsce.

[Redacted text block]

W tabeli poniżej przedstawiono podsumowanie oszacowania liczebności populacji obejmującej wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.

Tabela 4.
Liczba chorych stanowiąca populację, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Wariant	1 rok	2 rok	Źródło
Minimalny			
Prawdopodobny			
Maksymalny			

W analizie wrażliwości testowano scenariusz, w którym liczebność populacji oszacowano w oparciu o parametry epidemiologiczne (Tabela 1.) dotyczące [REDACTED]

[REDACTED] Wykorzystano przy tym dane dotyczące ludności Polski w 2024 roku (37 532 044 osób) [GUS Ludność Piramida] oraz, analogicznie jak w analizie podstawowej, prognozowaną liczbę urodzeń w 2 roku BIA na bazie danych z biuletynu GUS 2024. W poniżej tabeli przedstawiono podsumowanie wariantu bazującego na danych epidemiologicznych.

Tabela 5.
Liczba chorych stanowiąca populację, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana w alternatywnym wariantcie analizy

Wariant	1 rok	2 rok	Źródło
Minimalny			
Prawdopodobny			
Maksymalny			

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Na podstawie ChPL Filsuvez® określono, że populację docelową do stosowania żelu Oleogel-S10 stanowią chorzy z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka w wieku 6 miesięcy i starsi.

Oszacowanie w oparciu o dane epidemiologiczne

W większości badań epidemiologicznych dotyczących EB poza parametrami dotyczącymi wszystkich podtypów EB (suma) przedstawiono również parametry dla poszczególnych podtypów, tj. EBS, DEB, JEB lub rzadziej również dla DDEB i RDEB.

W porównaniu z innymi głównymi podtypami EB, JEB jest najrzadsze, z szacowaną chorobowością 0,49 przypadków na milion. Zapadalność na ciężką postać JEB to 0,50 przypadków na milion żywych urodzeń, co stanowi 2,5% zapadalności na EB, natomiast ta postać występuje bardzo rzadko w populacji globalnej (0,08 przypadków na milion osób; 0,7% chorobowości EB). W związku z wysoką śmiertelnością ciężkiej postaci JEB w pierwszych miesiącach życia, szacunki dotyczące zapadalności i chorobowości mogą być niedoszacowane [Fine 2016].

W przypadku podtypu DEB częstość występowania formy dominującej i recesywnej jest dość podobna (odpowiednio 1,49 i 1,35 na milion osób). Częstość występowania przypadków DEB bez określonego wzoru dziedziczenia wynosi 1,48 na milion osób [Fine 2016].

Wszystkie parametry dotyczące chorobowości i zapadalności JEB i DEB są około 3- i 2-krotnie większe, kolejno w populacji Anglii i Walii (*Petrof 2022*) oraz Francji (*Bodemer 2022*), w porównaniu z parametrami amerykańskimi, przedstawionymi w *Fine 2016*.

W przypadku zapadalności na JEB i DEB w populacji niemieckiej zaobserwowano natomiast porównywalne wartości, wynoszące około 15 przypadków na milion urodzeń. Jednakże podtyp dystroficzny jest wielokrotnie powszechniejszy w populacji ogólnej (12,16 chorych na milion) w porównaniu z podtypem granicznym (2,44 chorych na milion) [Has 2022].

W poniższej tabeli zestawiono wszystkie odnalezione źródła chorobowości i zapadalności na postać dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka.

Tabela 6.
Dostępne w literaturze parametry epidemiologiczne postaci dystroficznej i granicznej pęcherzowego oddzielania się naskórka

Publika- cja	Badana populacja	DEB		JEB		DEB i JEB	
		Chorobo- wość / mln	Zapadal- ność / mln urodzeń	Chorobo- wość / mln	Zapadal- ność / mln urodzeń	Chorobo- wość / mln	Zapadal- ność / mln urodzeń
Has 2022	Niemcy	12,16	15,58	2,44	14,23	14,60	29,81
Petrof 2022	Anglia i Walia	10,7	26,1	1,0	8,9	11,7	35,0

Publika- cja	Badana populacja	DEB		JEB		DEB i JEB	
		Chorobo- wość / mln	Zapadał- ność / mln urodzeń	Chorobo- wość / mln	Zapadał- ność / mln urodzeń	Chorobo- wość / mln	Zapadał- ność / mln urodzeń
Fine 2016	Stany Zjedno- czone	3,26	6,65	0,49	2,68	3,75	9,33
Bodemer 2022	Francja	6,2	b.d.	1,3	b.d.	7,5	b.d.
Na podsta- wie Has 2022, Petrof 2022, Fine 2016, Bodemer 2022	Norwegia	1,4-9,4	5,6-7,0	2,0	5-7	3,4-9,0	10,6-14,0
	Szkocja	20,4	0,2	0,4	0,05	20,8	0,25
	Irlandia Północna	3	0,03	0,7	0,3	3,7	0,33
	Holandia	8,3	14,1	2,1	9,3	10,4	23,4
	Nowa Zelandia	8,6	b.d.	0,9	b.d.	9,5	b.d.
	Australia	3,8	b.d.	0,7	b.d.	4,5	b.d.
	Japonia	2,6-3,6	b.d.	0,1-0,3	b.d.	2,7-3,9	b.d.

Oszacowanie w oparciu o dostępne polskie dane

Populacja docelowa, oszacowana na podstawie aktualnych danych Instytutu Matki i Dziecka, wynosi [REDACTED]

[REDACTED] [IMiDz 2024].

Populacja docelowa, oszacowana na podstawie raportu *AOTMiT Filsuvez 2023*, to 100 chorych w 1 roku BIA, natomiast roczna liczba nowych zachorowań to 30 przypadków na milion żywych urodzeń (7 nowych chorych w 2 roku BIA).

W *Otwartych danych NFZ* nie rozróżniano chorych z EB na poszczególne podtypy. Według raportu *NICE HST28* postać dystroficzna i graniczna stanowią kolejno 25% i 5% wszystkich przypadków EB. Parametry epidemiologiczne wskazują na podobne odsetki – 31% i 3% wg Petrof 2022, 23% i 5% wg Has 2022, 29% i 4% wg Fine 2016 oraz 49% i 10% wg Bodemer 2016. Zatem w wariantcie [REDACTED] przyjęto, że populacja DEB i JEB stanowi łącznie 30% populacji EB. Na podstawie danych GUS [GUS Ludność Piramida] oszacowano, że w 2024 roku 297 440 osób (0,8% populacji) stanowić będzie grupa wiekowa < 1 r.ż. Przyjęto zatem, że połowa tej populacji to chorzy < 6 miesięcy życia. Zatem przyjęto, że populacja docelowa (chorzy w wieku 6 miesięcy i starsi) to około 99,6% całkowitej populacji chorych z JEB i DEB w Polsce, a więc $30\% \cdot 99,6\% = 29,88\%$ populacji oszacowanej w rozdziale 2.5.1.

Populacja uwzględniona w analizie

Podobnie jak w przypadku populacji wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana, w analizie podstawowej wykorzystano dostępne polskie źródła danych, gdyż są one bardziej wiarygodne niż oszacowanie bazujące na europejskich/międzynarodowych danych epidemiologicznych. Populację docelową oszacowano, w zależności od wariantu, na podstawie:

- ⊗ minimalny - [REDACTED],
- ⊗ najbardziej prawdopodobny - [REDACTED] i
- ⊗ maksymalny - [REDACTED].

Estymowaną liczebność populacji docelowej przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 7.
Populacja docelowa, uwzględniona w analizie podstawowej BIA

Wariant oszacowania	1. rok refundacji	2. rok refundacji	Źródło
Minimalny	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Prawdopodobny	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Maksymalny	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

W analizie wrażliwości testowano scenariusz, w którym liczebność populacji oszacowano w oparciu o parametry epidemiologiczne (Tabela 6.) dotyczące [REDACTED]. Wykorzystano przy tym dane dotyczące ludności Polski w 2024 roku w wieku 6 miesięcy i starszych (99,6% z 37 532 044 osób) [GUS Ludność Piramida] oraz, analogicznie jak w analizie podstawowej, prognozowaną liczbę urodzeń w 2 roku BIA na bazie danych z biuletynu *GUS 2024*. W poniżej tabeli przedstawiono podsumowanie wariantu bazującego na danych epidemiologicznych.

Tabela 8.
Populacja docelowa w alternatywnym wariantcie analizy

Wariant oszacowania	1. rok refundacji	2. rok refundacji	Źródło
Minimalny	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Prawdopodobny	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Wariant oszacowania	1. rok refundacji	2. rok refundacji	Źródło
Maksymalny			

2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Obecnie Oleogel-S10 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 Filsuvez® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

2.5.4.1. Udziały w rynku

Udziały w rynku technologii wnioskowanej określono na podstawie [redacted] [redacted] Odsetek populacji docelowej, w której oceniana technologia byłaby stosowana wynosi [redacted] [redacted]. Założono, że część populacji docelowej, która nie przyjmowałaby żelu Oleogel-S10, będzie stosować aktualne postępowanie kliniczne (CCM).

W analizie wrażliwości testowano arbitralne wartości [redacted] udziałów leku Filsuvez® w populacji docelowej.

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 oraz komparatorem.

Tabela 9.
Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w scenariuszu nowym

Wariant	1 rok	2 rok
minimalny		
prawdopodobny		
maksymalny		

Wielkość dostaw żelu Oleogel-S10 (Filsuvez®), 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 Oleogel-S10, żel 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 10.
Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana		art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. a
Populacja docelowa, wskazana we wniosku		art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. b
Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	0	art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. c

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją		art. 6 ust. 1 pkt 2
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	0	art. 6 ust. 1 pkt 4

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 uwzględniono i oceniano następujące różniące kategorie kosztowe ponoszone z perspektywy płatnika publicznego:

- ⊗ koszty leków;
- ⊗ koszty opatrunków;
- ⊗ koszty przepisania i podania leków i opatrunków;
- ⊗ koszty chirurgii oraz wizyt szpitalnych.

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich: koszty monitorowania leczenia oraz koszty leczenia zdarzeń niepożądanych 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 (Tabela 11.) wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

Tabela 11.
Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszty monitorowania leczenia	Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości

Kategoria kosztowa	Uzasadnienie kwalifikacji
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania terapii w <i>Analizie klinicznej</i> wykazano porównywalną częstość występowania zdarzeń niepożądanych w porównaniu z komparatorem

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 uwzględnianych technologii medycznych konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz cen jednostkowych leków.

2.6.1.1. Dawkowanie

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Filsuvez®* określono, że w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych Oleogel-S10 podawany jest przy każdej zmianie opatrunku rany i należy go nakładać na powierzchnię rany na grubość około 1 mm. To dawkowanie było również stosowane u chorych w badaniu EASE, odnalezionym w ramach przeglądu systematycznego *Analizy klinicznej*.

Przyjęto, że średnie zużycie żelu Oleogel-S10 (PDD) wynosi █████ g/dobę. Oszacowano to na podstawie średniego zużycia tub w badaniu EASE (biorąc pod uwagę wszystkich badanych), wynoszącego █████ tub o masie 23,4 g na cykl [Dane od Wnioskodawcy].

W niniejszej analizie przyjęto, że dawka leku Oleogel-S10 zależy wprost proporcjonalnie od procentowej powierzchni ciała pokrytej ranami o częściowej grubości, ze względu na to, że Oleogel-S10 jest nakładany, jako warstwa o grubości 1 mm, na każdą ranę, przy każdej zmianie opatrunków [ChPL Filsuvez®]. Zatem szacowana dawka leku zmniejsza się w przypadku gdy chory znajduje się w łagodniejszym stanie zdrowia, a zwiększa gdy znajduje się on w stanie cięższym. Szczegóły dotyczące oszacowania dawkowania żelu Oleogel-S10 w uwzględnianych stanach zdrowia opisano w *Analizie ekonomicznej*, natomiast poniżej przedstawiono jego podsumowanie.

Tabela 12.
Zużycie żelu Oleogel-S10 w danym stanie zdrowia HS

Parametr	HS1	HS2	HS3	HS4	HS5	HS6
Zużycie leku w danym HS (tub/cykl*), (analiza podstawowa)						
Zużycie leku w danym HS (tub/cykl*), (scenariusz uwzględniający wastage)						

*długość cyklu to 30 dni

W analizie podstawowej założono, że cała zawartość tubki Filsuvez® zostanie zużyta przez chorego przy każdej zmianie opatrunków, a zatem zużycie leku będzie równe ilości przypisanej choremu. W analizie wrażliwości testowano scenariusz uwzględniający wastage, a więc zakładający, że przy każdorazowej zmianie opatrunków chory zużywa całkowitą liczbę tub leku Filsuvez® 23,4g (potrzebną ilość leku zaokrąglano w górę do najbliższej wielokrotności masy tuby).

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. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej. Prezentacja Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. będzie wyznaczała podstawę limitu w grupie.

Cenę zbytu netto żelu Oleogel-S10 otrzymano od Wnioskodawcy, wynosi ona [REDAKTED] PLN za opakowanie Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. [*Dane dostarczone przez Wnioskodawcę*]. Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu, cenę hurtową, cenę hurtową brutto oraz cenę detaliczną brutto leku.

W obliczeniach analizy uwzględniono ponadto założenia proponowanej przez Podmiot odpowiedzialny umowy podziału ryzyka (RSS), w ramach której [REDAKTED]

[REDAKTED]

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 13.). [REDAKTED]

[REDAKTED]

Tabela 13.
Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)

	Prezentacja	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Cena detaliczna brutto	Koszt NFZ (Cena efektywna)
Oleogel-S10 bez RSS						
	Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt.					
Oleogel-S10 z RSS						
	Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt.					

Na podstawie wskazanego dawkowania oraz cen leków wyznaczono koszt leków w przeliczeniu na opakowanie oraz w rocznym okresie. Ze względu na zmienne dawkowanie żelu Oleogel-S10, w zależności od całkowitej powierzchni ciała objętej ranami o częściowej grubości (parametr zmienny w czasie), koszty w 1 i 2 roku terapii nie są identyczne. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

Tabela 14.
Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)

Substancja	Koszt opakowania	Koszt 1 roku leczenia	Koszt 2 roku leczenia
Oleogel-S10 bez RSS			
Oleogel-S10 z RSS			

2.6.2. Koszt przepisania i podania wnioskowanej technologii medycznej

Ze względu na to, że żel Oleogel-S10 jest lekiem stosowanym miejscowo, przy każdej zmianie opatrunków, założono, że podanie leku nie wiąże się z żadnymi dodatkowymi kosztami dla

personelu medycznego (koszt uwzględniony w ramach podania opatrunków; *Analiza ekonomiczna*).

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 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 miesięcznych interwałach. W ten sposób około 1/12 rocznej populacji docelowej chorych rozpocznie leczenie w styczniu, 1/12 populacji w lutym 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 12 miesięcy terapii, w drugim roku koszt od 13 do 24 miesiąca terapii w modelu. Z kolei choremu, który rozpocznie leczenie np. w 4 miesiącu roku, w pierwszym roku analizy BIA zostanie przyporządkowany koszt pierwszych 9 miesięcy terapii w modelu, w drugim roku BIA koszt od 10 do 21 miesiąca modelu itd.

W poniższych tabelach przedstawiono sposób naliczania kosztów, który następnie krótko omówiono. Pierwsza tabela przedstawia koszty ponoszone w kolejnych latach horyzontu czasowego dotyczące leczenia chorego w ramach aktualnego postępowania klinicznego (CCM) oraz wnioskowaną technologią (FIL), w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia chorego (odpowiedni miesiąc roku).

Tabela 15.
Koszty ponoszone w rozpatrywanych terapiach, w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w ciągu roku (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka

Miesiąc przystąpienia do terapii	Odsetek chorych rozpoczynających leczenie w 1. roku BIA	CCM		FIL	
		Koszt leczenia w 1 roku BIA	Koszt leczenia w 2 roku BIA	Koszt leczenia w 1 roku BIA	Koszt leczenia w 2 roku BIA
Chory rozpoczynający leczenie w 2. roku BIA					
1	8,33%	34 081,63	33 114,13		
2	8,33%	31 241,50	33 194,76		
3	8,33%	28 401,36	33 275,38		
4	8,33%	25 561,22	33 356,01		

Miesiąc przystąpienia do terapii	Odsetek chorych rozpoczynających leczenie w 1. roku BIA	CCM		FIL	
		Koszt leczenia w 1 roku BIA	Koszt leczenia w 2 roku BIA	Koszt leczenia w 1 roku BIA	Koszt leczenia w 2 roku BIA
5	8,33%	22 721,09	33 436,63		
6	8,33%	19 880,95	33 517,26		
7	8,33%	17 040,82	33 597,88		
8	8,33%	14 200,68	33 678,51		
9	8,33%	11 360,54	33 759,13		
10	8,33%	8 520,41	33 839,76		
11	8,33%	5 680,27	33 920,38		
12	8,33%	2 840,14	34 001,01		
Średni koszt dotyczący chorego rozpoczynającego leczenie w 1. roku BIA		18 460,88	33 557,57		
Chory rozpoczynający leczenie w 2. roku BIA					
1	8,33%	0,00	34 081,63	0,00	
2	8,33%	0,00	31 241,50	0,00	
3	8,33%	0,00	28 401,36	0,00	
4	8,33%	0,00	25 561,22	0,00	
5	8,33%	0,00	22 721,09	0,00	
6	8,33%	0,00	19 880,95	0,00	
7	8,33%	0,00	17 040,82	0,00	
8	8,33%	0,00	14 200,68	0,00	
9	8,33%	0,00	11 360,54	0,00	
10	8,33%	0,00	8 520,41	0,00	
11	8,33%	0,00	5 680,27	0,00	
12	8,33%	0,00	2 840,14	0,00	
Średni koszt dotyczący chorego rozpoczynającego leczenie w 2. roku BIA		0,00	18 460,88	0,00	

W pierwszej kolumnie powyższej tabeli przedstawiono okres w ciągu roku, w którym chory przystępuje do leczenia, w drugiej kolumnie znajdują się udziały chorych odzwierciedlające równomierne włączanie chorych do leczenia w ciągu roku. Kolejne kolumny reprezentują koszt jaki ponosi chory w kolejnych latach horyzontu czasowego analizy, w zależności od przyjmowanej terapii (CCM lub FIL). W przypadku, gdy chory przystąpi do leczenia w drugim roku horyzontu czasowego analizy BIA na jego całkowity koszt leczenia składają się jedynie koszty 2 roku BIA (1 roku leczenia). Średni roczny koszt leczenia chorego został policzony jako średnia ważona odsetka zaprezentowanego w 2 kolumnie powyższej tabeli i kosztu zaprezentowanego w kolumnie dla odpowiedniej terapii i roku leczenia. Średnie koszty

leczenia chorego w perspektywie rocznej (1 i 2 rok BIA) ponoszone w zależności od roku rozpoczęcia leczenia przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 16.

Koszty ponoszone w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1 rok			
2 rok			

W kolumnie drugiej, w pierwszym wierszu przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego (314 627,86 PLN) rozpoczynającego terapię żelem Oleogel-S10 w 1 roku refundacji, ponoszony w pierwszym roku horyzontu czasowego BIA. W kolumnie trzeciej, wiersz pierwszy przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego (526 911,50 PLN) rozpoczynającego terapię w 1 roku BIA, ponoszony w drugim roku horyzontu czasowego BIA itd.

W analogiczny sposób oszacowano średnie koszty roczne ponoszone w ramach aktualnego postępowania klinicznego chorych w populacji docelowej.

Tabela 17.

Koszty ponoszone w ramach aktualnego postępowania klinicznego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1 rok	18 460,88	33 557,57	52 018,45
2 rok	n/d	18 460,88	18 460,88

W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone na lek Filsuvez® w terapii żelem Oleogel-S10 u chorych.

Tabela 18.

Koszty ponoszone na lek Filsuvez® w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
1 rok			
2 rok			



Koszty technologii wnioskowanej w okresie 2 letnim, dotyczące terapii żelem Oleogel-S10 w wariantach z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka, przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 19.

Koszty ponoszone na lek Filsuvez® w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka

Rok rozpoczęcia leczenia		wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt żelu Oleogel-S10 w okresie 2 letnim

2.6.4. Podsumowanie kosztów

W poniższych tabelach przedstawiono podsumowanie średnich kosztów rocznych.

Tabela 20.

Koszty ponoszone w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)

Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim
Wariant bez RSS			
1 rok			
2 rok			



Rok rozpoczęcia leczenia	wydatek w 1 roku BIA	wydatek w 2 roku BIA	Koszt terapii w okresie 2 letnim

2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 21.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Parametry analizy wpływu na system ochrony zdrowia					
Horyzont czasowy analizy	2 lata	n/d	n/d	n/d	Wytyczne AOTMiT
Średni wiek chorych w populacji docelowej	16,67	min	0,50	Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna
Źródło rozkładu podtypów EB w populacji docelowej	IMiDz 2024	n/d	n/d	n/d	IMiDz 2024
Oszacowanie populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana oraz populacji docelowej	Na podstawie dostępnych polskich danych [redacted]	alter	Na podstawie danych epidemiologicznych	W analizie podstawowej wykorzystano polskie źródła danych, gdyż są one bardziej wiarygodne niż oszacowanie bazujące na europejskich/międzynarodowych danych epidemiologicznych. Badania epidemiologiczne dotyczące EB mogą niedokładnie odzwierciedlać sytuację polską, między innymi ze względu na odmienny poziom diagnostyki w poszczególnych krajach, czy dostęp do lekarzy specjalistów. Ograniczeniem parametrów epidemiologicznych jest również ich zmienność w czasie	Założenie
Liczebność populacji docelowej	Rozdział 2.5.2.	n/d	n/d	Rozdział 2.5.2.	Rozdział 2.5.2.
Udziały Filsuvez® w populacji docelowej	[redacted]	min	[redacted]	[redacted]	[redacted], Założenie
		max	[redacted]	[redacted]. W analizie wrażliwości testowano wartości arbitralne	
Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w scenariuszu nowym	Rozdział 2.5.4.	n/d	n/d	Rozdział 2.5.4.	Rozdział 2.5.4.

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Prawdopodobieństwo dyskontynuacji (model ekonomiczny)	0%	n/d	n/d	Przyjęto, że model ekonomiczny, na podstawie którego obliczane są koszty chorych leczonych i nieleczonych FIL, dotyczy chorego leczonego daną technologią medyczną w całym horyzoncie niniejszej analizy. Wyzerowano zatem parametr dotyczący dyskontynuacji FIL w modelu ekonomicznym. Potencjalne dyskontynuacje są uwzględniane w udziałach FIL w populacji docelowej	Założenie
Parametry epidemiologiczne					
Chorobowość EB (przypadków na milion)		n/d	n/d		
Zapadalność na EB (przypadków na milion urodzeń)		n/d	n/d		
Chorobowość DEB i JEB (przypadków na milion)		n/d	n/d		
Zapadalność na DEB i JEB (przypadków na milion urodzeń)		n/d	n/d		
Odsetek chorych z podtypem JEB i DEB wśród wszystkich podtypów EB	30%	n/d	n/d	Podobny odsetek zaobserwowano w badaniach epidemiologicznych	NICE HST28
Ludność Polski	37 532 044	n/d	n/d	n/d	GUS Ludność Piramida

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Odsetek populacji Polski w wieku 6 miesięcy i starszej	99,6%	n/d	n/d	n/d	GUS Ludność Piramida
Roczna liczba urodzeń w Polsce	272 100	n/d	n/d	W wariacie minimalnym i maksymalnym populacji testowano wartości oszacowane w oparciu o różne trendy rocznej liczby urodzeń	GUS 2024
Parametry kosztowe					
Cena zbytu netto leku Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. (PLN)		n/d	n/d	n/d	Dane od Wnioskodawcy
Średnie dawkowanie FIL (tub/cykl)		min	12,8	Rozdział 2.6.1.1	Rozdział 2.6.1.1
		max			
Uwzględnienie wastage FIL	NIE	alter	TAK	Rozdział 2.6.1.1	Rozdział 2.6.1.1
Średnie koszty opatrunków oszacowane na podstawie	Statystyk NFZ	alter	Wykazu leków refundowanych	Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna
Zmniejszenie zużycia opatrunków (w danym stanie zdrowia HS) wyłącznie ze względu na stosowanie leku Oleogel-S10	12%	min	0%	Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna
Koszt domowej wizyty pielęgniarki POZ (PLN)	34,98	min	18,52	Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna
Koszty opieki formalnej oszacowane na podstawie	średniej liczby godzin pracy opiekuna formalnego (wizyty domowe pielęgniarki POZ)	alter	odsetka chorych potrzebujących opieki formalnej (wizyty domowe w ramach KLRP-2)	Analiza ekonomiczna	Analiza ekonomiczna

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Roczna liczba zabiegów chirurgicznych	3,20	min	1,60	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>
Koszt zabiegu chirurgicznego związanego z leczeniem ran (PLN)	4 414,21	min	3 293,78	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>
		max	6 149,73	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>
Koszt wizyty szpitalnej (PLN)	70,79	n/d	n/d	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>
Modelowanie krzywej wejścia chorych do leczenia i ustalenia się równowagi rynkowej żelu Oleogel-S10	TAK	alter	NIE	W analizie podstawowej przyjęto, że kwalifikacja do leczenia poszczególnymi terapiami odbywa się płynnie w ciągu całego roku. Ze względu na niepewność dotyczącą dynamiki tego procesu w scenariuszu alternatywnym testowano skrajny wariant dotyczący włączania wszystkich chorych wraz z potencjalnym rozpoczęciem refundacji leku Filsuvez®	<i>Założenie</i>
Pozostałe parametry analizy ekonomicznej					
Parametry kliniczne związane ze skutecznością i bezpieczeństwem stosowanych terapii	<i>Analiza ekonomiczna</i>	<i>Analiza ekonomiczna</i>		Uzasadnienie przyjęcia określonych zakresów zmienności lub scenariuszy dla testowanych parametrów zawarto w Analizie ekonomicznej	<i>Analiza ekonomiczna</i>

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. 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 2024 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą około 2,38 mln PLN w 2024 roku.

Obecnie Oleogel-S10 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. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

Tabela 22.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS

Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1. rok refundacji	2. rok refundacji	1. rok refundacji	2. rok refundacji	1. rok refundacji	2. rok refundacji
Całkowite koszty różniące*						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						
Koszt żelu Oleogel-S10 (Filsuvez®)						
minimalny						
prawdopodobny						
maksymalny						

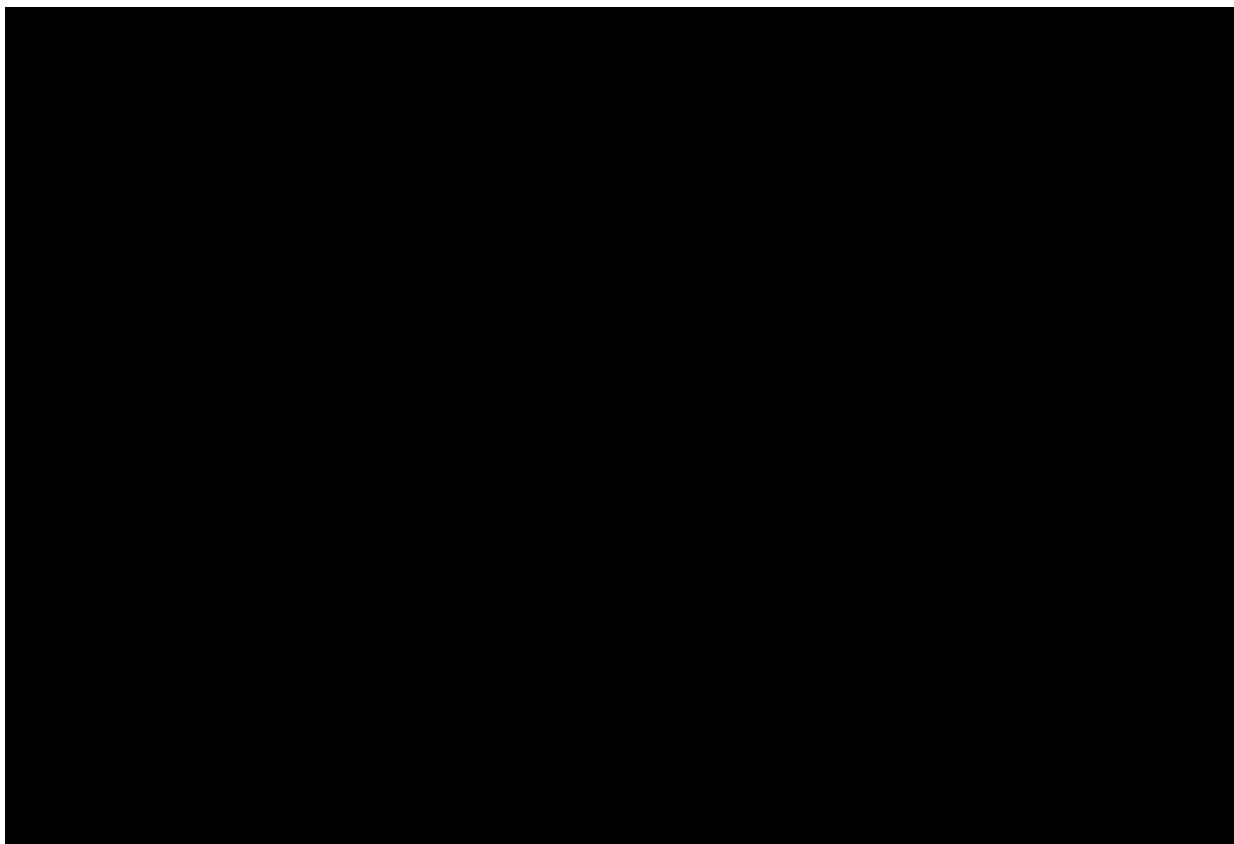
*biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

Tabela 23.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS

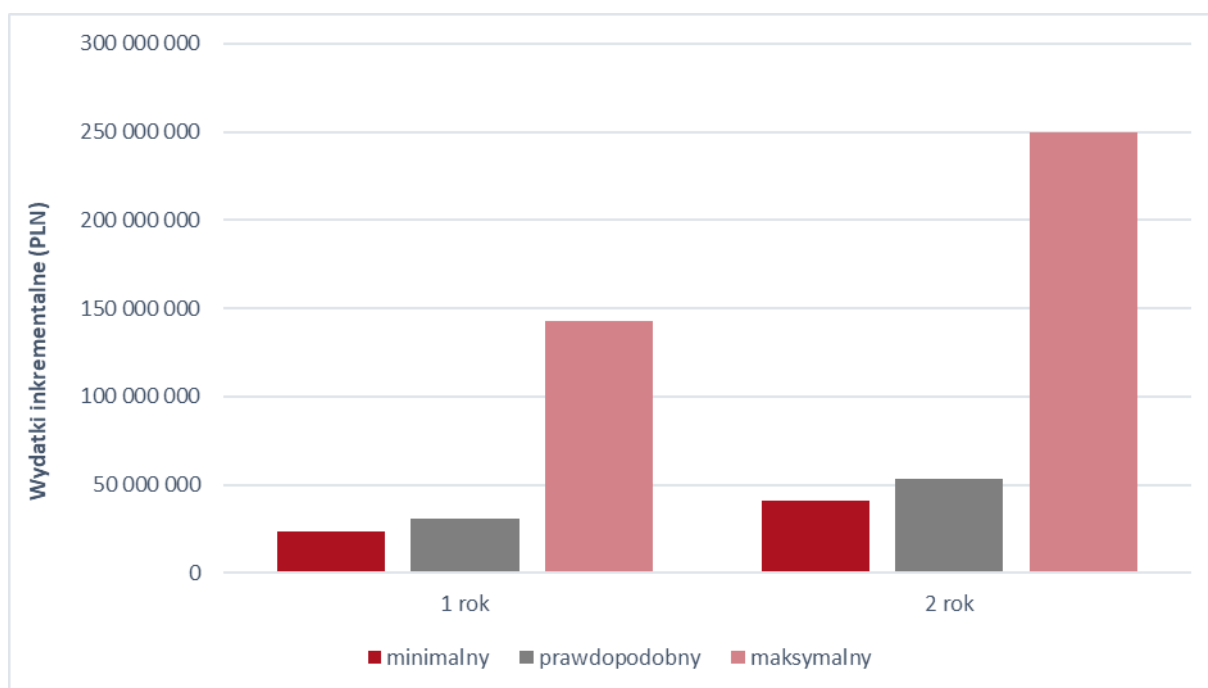
Wariant	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
	1. rok refundacji	2. rok refundacji	1. rok refundacji	2. rok refundacji	1. rok refundacji	2. rok refundacji
Całkowite koszty różniące*						
minimalny	1 846 088	3 503 444	25 539 446	44 748 761	23 693 358	41 245 317
prawdopodobny	2 381 454	4 495 074	33 182 819	57 580 885	30 801 365	53 085 811
maksymalny	11 131 913	21 139 798	154 180 561	270 980 260	143 048 648	249 840 463
Koszt żelu Oleogel-S10 (Filsuvez®)						
minimalny	0	0	24 023 220	42 965 342	24 023 220	42 965 342
prawdopodobny	0	0	31 230 186	55 314 422	31 230 186	55 314 422
maksymalny	0	0	145 040 189	260 236 557	145 040 189	260 236 557

*biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń

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



Rysunek 4.
Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różnice koszty inkrementalne) w wersji bez RSS (PLN)



3. Analiza wrażliwości

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 przeprowadzono ponadto analizę scenariuszy, w której uwzględniono m.in. alternatywne źródła oszacowania populacji oraz alternatywne założenia dotyczące modelowania krzywej wejścia chorych do leczenia i ustalenia się równowagi rynkowej.

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

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższej tabeli. Podkreślić należy, że przy zmianie każdego parametru wnioskowanie z analizy nie ulega zmianie.

Tabela 24.
Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego w wersji z RSS

Parametr	Wartość parametru z analizy podstaw.	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna)		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie minimalnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie prawdopodobnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie maksymalnym		
		n/d	n/d	n/d	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Wartość z analizy podstawowej	n/d	n/d	n/d							
Oszacowanie populacji chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana oraz populacji docelowej	Na podstawie dostępnych polskich danych [redacted]	alter	Na podstawie danych epidemiologicznych							
Średnie dawkowanie FIL (tub/cykl)	[redacted]									
Średnie dawkowanie FIL (tub/cykl)	[redacted]									
Uwzględnienie wstęgi FIL	NIE	alter	TAK							
Średnie koszty opatrunków oszacowane na podstawie	Statystyk NFZ	alter	Wykazu leków refundowanych							
Zmniejszenie zużycia opatrunków (w danym stanie zdrowia HS) wyłącznie ze względu na	12%	min	0%							

Parametr	Wartość parametru z analizy podstaw.	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna)	Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie minimalnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie prawdopodobnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie maksymalnym		
			1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	
Średnie dawkowanie FIL (tub/cykl)									
Uwzględnienie wstęgi FIL	NIE	alter	TAK						
Średnie koszty opatrunków oszacowane na podstawie	Statystyk NFZ	alter	Wykazu leków refundowanych	23 540 221,68	40 594 769,63	30 602 288,19	52 243 545,54	142 124 088,40	245 907 473,10
Zmniejszenie zużycia opatrunków (w danym stanie zdrowia HS) wyłącznie ze względu na stosowanie leku Oleogel-S10	12%	min	0%	23 724 188,99	41 274 369,99	30 841 445,69	53 122 886,74	143 234 791,04	250 016 941,64
Koszt domowej wizyty pielęgniarki POZ	34,98	min	18,52	23 713 761,17	41 324 381,14	30 827 889,52	53 188 135,86	143 171 833,08	250 318 522,23
Koszty opieki formalnej oszacowane na podstawie	średniej liczby godzin pracy opiekuna formalnego (wizyty domowe pielęgniarki POZ)	alter	odsetka chorych potrzebujących opieki formalnej (wizyty domowe w ramach KLRP-2)	23 727 407,03	41 364 452,61	30 845 629,14	53 239 921,73	143 254 219,97	250 560 927,05
Roczna liczba zabiegów	3,20	min	1,60	23 790 080,10	41 818 959,55	30 927 104,14	53 829 370,61	143 632 608,63	253 307 186,69

Parametr	Wartość parametru z analizy podstaw.	Nowa wartość parametru (minimalna, maksymalna)		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie minimalnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie prawdopodobnym		Wynik inkrementalny (PLN) w wariancie maksymalnym	
				1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
chirurgicznych (średnia dla wszystkich stanów)									
Koszt zabiegu chirurgicznego związanego z leczeniem ran	4 382,74	min	3 348,54	23 742 458,34	41 536 523,06	30 865 195,85	53 463 274,67	143 345 092,25	251 600 324,52
Koszt zabiegu chirurgicznego związanego z leczeniem ran	4 382,74	max	6 217,56	23 617 301,65	40 794 240,24	30 702 492,15	52 501 123,02	142 589 458,72	247 114 450,58
Udziały Filsuvez® w populacji docelowej w 1. roku refundacji									
Udziały Filsuvez® w populacji docelowej w 1. roku refundacji									
Modelowanie krzywej wejścia chorych do leczenia i ustalenia się równowagi rynkowej żelu Oleogel-S10	TAK	alter	NIE						

4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Filsuvez® (Oleogel-S10) w leczeniu chorych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka, w ramach refundacji aptecznej 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

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii. Obecnie nie istnieje żadna zarejestrowana ani skuteczna terapia leczenia chorych z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka, która mogłaby stanowić alternatywę dla leku Filsuvez®. Oleogel-S10 jest jedynym lekiem zarejestrowanym we wskazaniu o udowodnionej skuteczności, natomiast wszystkie pozostałe stosowane terapie należy uznać za terapię wspomagającą. Tradycyjne metody leczenia pęcherzowego oddzielania się naskórka koncentrują się wyłącznie na łagodzeniu objawów i ochronie bariery skórnej poprzez miejscowe opatrywanie ran i unikanie urazów. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy opatrunków oraz pomocniczych wyrobów medycznych stosowanych przy opatrywaniu ran nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Leczenie to pozwala na wyleczenie całkowite jedynie niewielkiego odsetka spośród wszystkich ran chorego, w niewielkim stopniu poprawia jakość życia chorych oraz nie powoduje zmniejszenia częstości potrzeby zmieniania opatrunków. Stosowanie żelu Oleogel-S10 ma na celu wyleczenie ran chorego, zmniejszenia częstości potrzeby zmieniania opatrunków, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*, oraz zwiększenia jakości życia chorego i osób opiekujących się osobą chorą.

Progresywny charakter analizowanej jednostki chorobowej prowadzi do niepełnosprawności chorych. Postać dystroficzna i graniczna pęcherzowego oddzielania się naskórka są

chorobami nieuleczalnymi, z którymi dożywotnio obciążają chorego. Świadczy o tym pojawianie się na ciele chorego nowych ran, nawet w przypadku skutecznej terapii gojenia się poprzednich ran. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami utraty produktywności. Koszty te są, tym wyższe im mniej skutecznie prowadzona jest terapia tych chorych. Obecnie chorzy nie mają zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia przez co koszty społeczne są eskalowane. Refundacja żelu Oleogel-S10 pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

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 26.
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 rodziny.	Nie
Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	
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 wymagania, takie jak:	

Warunek	Wartość
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 [REDACTED]

[REDACTED] danych GUS (*GUS 2024*, *GUS Ludność Piramida*) oraz raportu NICE *HST28*, natomiast w analizie wrażliwości testowano alternatywny wariant liczebności populacji docelowej w oparciu o badania epidemiologiczne i obserwacyjne [REDACTED]

[REDACTED] Badania epidemiologiczne dotyczące EB mogą niedokładnie odzwierciedlać sytuację polską, między innymi ze względu na odmienny poziom diagnostyki w poszczególnych krajach, czy dostęp do lekarzy specjalistów. Ograniczeniem parametrów epidemiologicznych jest również ich zmienność w czasie, co wykazano w badaniach *Petrof 2022* i *Fine 2016*, prowadzonych na przestrzeni kilkudziesięciu lat (rozdział 2.5.1.).

Istotnym ograniczeniem jest również rozbieżność między wykrytą liczbą chorych z EB w Polsce, od 75 chorych według *Statystyk NFZ* (pacjenci rozliczający świadczenie *Okresowa kontrola z zaopatrzeniem w niezbędne produkty*, dotyczące wyłącznie chorych z pęcherzowym oddzielaniem się naskórka) do ok. 2 000 chorych sklasyfikowanych do kategorii Q81 ICD-10 według *Otwartych Danych NFZ*. [REDACTED]

[REDACTED]

Ze względu na niepewność prognozowanych udziałów żelu Oleogel-S10 w populacji docelowej w analizie wrażliwości testowano arbitralnie ustalone wartości.

Kolejnym ograniczeniem analizy jest niepewność co do dynamiki włączania chorych z populacji docelowej do określonej terapii. W analizie podstawowej przyjęto, że kwalifikacja do leczenia poszczególnymi terapiami odbywa się płynnie w ciągu całego roku, natomiast w

scenariuszu alternatywnym testowano skrajny wariant, dotyczący włączenia wszystkich chorych z populacji do ich docelowej terapii w 1 miesiącu horyzontu czasowego (rozdział 2.6.3.).

Koszty leczenia chorego oszacowano w niniejszej analizie na podstawie początkowego okresu modelu ekonomicznego, odzwierciedlającego 2-letni horyzont czasowy BIA. W związku z powyższym duża część ograniczeń modelu ekonomicznego, odnalezionych i wymienionych w *Analizie ekonomicznej*, rzutuje również na niniejszą analizę. Ograniczeniami niniejszej analizy są zatem m.in. trudność w uchwyceniu niejednorodności choroby pęcherzowego oddzielania się naskórka, dostępność danych klinicznych oraz brak polskich danych dotyczących charakterystyki klinicznej chorych z DEB/JEB (średni wiek, rozkład płci, rozkład stanów ciężkości choroby).

Zgodnie z *Analizą ekonomiczną*, w niniejszej analizie konserwatywnie nie uwzględniano kosztów badań medycznych, kosztów transportu niemedycznego, kosztów opiekuna nieformalnego oraz kosztów związanych ze zmniejszeniem produktywności chorego, w ramach kategorii kosztowych różniących terapię żelem Oleogel-S10 i aktualne postępowanie kliniczne. Na podstawie analizy bezpieczeństwa w *Analizie klinicznej* przyjęto, że koszt leczenia zdarzeń niepożądanych będzie identyczny w przypadku leczenia wnioskowaną technologią i komparatorem, zatem nie uwzględniano go w ramach niniejszej analizy.

Oszacowanie średniego dawkowania żelu Filsuvez® w danym stanie zdrowia wiąże się z licznymi ograniczeniami, które wynikają z rozbieżności między zużyciem oczekiwanym, zgodnym z ChPL Filsuvez®, a rzeczywistym, obserwowanym w badaniach klinicznych i w polskiej praktyce klinicznej. Szczegóły tego ograniczenia przedstawiono w *Analizie ekonomicznej*.

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach odrębnej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Podstawę limitu w tej grupie limitowej stanowić będzie prezentacja Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. Podejście takie jest zgodne z zapisami *Ustawy o refundacji*.

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

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu Filsuvez® (Oleogel-S10) 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 chorzy z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka.

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 kwiecień 2024 – marzec 2026, 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 *Wytycznych AOTMiT*.

Oszacowanie populacji

Wariant populacji	Liczebność w 1. roku refundacji	Liczebność w 2. roku refundacji
Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej*		
Minimalny		
Prawdopodobny		
Maksymalny		
Prognozowana łączna liczba chorych leczonych z wykorzystaniem żelu Filsuvez®		
Minimalny		
Prawdopodobny		

Wariant populacji	Liczebność w 1. roku refundacji	Liczebność w 2. roku refundacji
Maksymalny		

*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku wnioskowanego wskazania refundacyjnego

Bezpośrednią konsekwencją decyzji refundacyjnej będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych. Tradycyjne metody leczenia pęcherzowego oddzielania się naskórka koncentrują się wyłącznie na łagodzeniu objawów i ochronie bariery skórnej poprzez miejscowe opatrywanie ran i unikanie urazów. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy opatrunków oraz pomocniczych wyrobów medycznych stosowanych przy opatrywaniu ran nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Leczenie to pozwala na wyleczenie całkowite jedynie niewielkiego odsetka spośród wszystkich ran chorego, w niewielkim stopniu poprawia jakość życia chorych oraz nie powoduje zmniejszenia częstości potrzeby zmieniania opatrunków. Stosowanie żelu Oleogel-S10 ma na celu wyleczenie ran chorego, zmniejszenia częstości potrzeby zmieniania opatrunków, czego dowodzą wyniki *Analizy klinicznej*, oraz zwiększenia jakości życia chorego i osób opiekujących się osobą chorą.

Refundacja technologii wnioskowanej spowoduje zwiększenie wydatków z perspektywy płatnika publicznego. Wyniki przeprowadzonej jednokierunkowej analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy wskazują, że wnioski te nie zmieniają się w przypadku przyjmowania do kalkulacji alternatywnych wartości parametrów i realizacji alternatywnych scenariuszy analizy.

Wzrost wydatków wynikać będzie z [REDAKTOWANE]

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

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Filsuvez® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej u chorych³ w wieku 6 miesięcy i

³ Jak również u opiekunów osób chorych (*Analiza ekonomiczna*)

więcej z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka w Polsce, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej

W przypadku leku Filsuvez® 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 Filsuvez® nie jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia.

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że leku Filsuvez® 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 żelu Oleogel-S10 może nastąpić tylko w drodze utworzenie nowej grupy limitowej. Nie jest możliwe włączenie leku Filsuvez® 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 27.

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.
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 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 (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.

8.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

Tabela 28.

Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. (w miesięcznych okresach)*

Miesiąc	1. rok refundacji			2. rok refundacji		
	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.	Wariant min.	Wariant prawd.	Wariant maks.
1.						
2.						
3.						
4.						
5.						
6.						
7.						
8.						
9.						
10.						
11.						
12.						
SUMA						

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

9. Spis tabel

Tabela 1. Dostępne w literaturze parametry epidemiologiczne pęcherzowego oddzielania się naskórka	18
Tabela 2. Pęcherzowe oddzielanie się naskórka w Polsce według <i>Otwartych Danych NFZ</i>	19
Tabela 3. Pacjenci korzystający ze świadczeń dedykowanych pęcherzowemu oddzielaniu się naskórka według <i>Statystyk NFZ</i>	19
Tabela 4. Liczba chorych stanowiąca populację, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	22
Tabela 5. Liczba chorych stanowiąca populację, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana w alternatywnym wariantcie analizy	22
Tabela 6. Dostępne w literaturze parametry epidemiologiczne postaci dystroficznej i granicznej pęcherzowego oddzielania się naskórka	23
Tabela 7. Populacja docelowa, uwzględniona w analizie podstawowej BIA.....	25
Tabela 8. Populacja docelowa w alternatywnym wariantcie analizy.....	25
Tabela 9. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w scenariuszu nowym.....	27
Tabela 10. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	27
Tabela 11. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne	28
Tabela 12. Zużycie żelu Oleogel-S10 w danym stanie zdrowia HS	30
Tabela 13. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN).....	31
Tabela 14. Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN)	31

Tabela 15. Koszty ponoszone w rozpatrywanych terapiach, w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w ciągu roku (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka.....	32
Tabela 16. Koszty ponoszone w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka.....	34
Tabela 17. Koszty ponoszone w ramach aktualnego postępowania klinicznego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN).....	34
Tabela 18. Koszty ponoszone na lek Filsuvez® w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka.....	34
Tabela 19. Koszty ponoszone na lek Filsuvez® w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka.....	35
Tabela 20. Koszty ponoszone w terapii żelem Oleogel-S10 w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN).....	35
Tabela 21. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	37
Tabela 22. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS.....	42
Tabela 23. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS.....	43
Tabela 24. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego w wersji z RSS.....	46
Tabela 25. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego w wersji bez RSS.....	48
Tabela 26. Aspekty społeczne i etyczne.....	52

Tabela 27. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	59
Tabela 28. Określenie wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań Filsuvez® żel, tuba 23,4 g, 30 szt. (w miesięcznych okresach)*	61

10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet.....	15
Rysunek 2. Oszacowanie rocznej liczby urodzeń na podstawie biuletynu <i>GUS 2024</i>	21
Rysunek 3. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) w wersji z RSS (PLN)	44
Rysunek 4. Wyniki analizy wpływu na budżet (całkowite różniące koszty inkrementalne) w wersji bez RSS (PLN)	44

11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza ekonomiczna	<i>Filsuvez® (Oleogel-S10) w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych. Analiza ekonomiczna, MAHTA 2024</i>
Analiza kliniczna	<i>Filsuvez® (Oleogel-S10) w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych. Analiza kliniczna, MAHTA 2024</i>
Analiza problemu decyzyjnego	<i>Filsuvez® (Oleogel-S10) w leczeniu ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną i graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka u chorych w wieku 6 miesięcy i starszych. Analiza problemu decyzyjnego, MAHTA 2024</i>
AOTMiT Filsuvez 2023	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Filsuvez we wskazaniu: leczenie ran o częściowej grubości związanych z postacią dystroficzną pęcherzowego oddzielania się naskórka (ang. dystrophic epidermolysis bullosa, DEB) i postacią graniczną pęcherzowego oddzielania się naskórka (ang. junctional epidermolysis bullosa, JEB) u pacjentów w wieku 6 miesięcy i starszych. Opracowanie analityczne. Raport oceny technologii o wysokiej innowacyjności w ramach Funduszu Medycznego za rok 2023</i>
Bodemer 2022	Bodemer C., Soussand L., Sandrin A. i in. <i>French data on the epidemiology and expert healthcare network for epidermolysis bullosa</i> . Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology, 2022
ChPL Filsuvez®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Filsuvez®
Dane od Wnioskodawcy	Dane otrzymane od Wnioskodawcy w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej oraz warunków umowy podziału ryzyka
EMA EPAR 2022	EMA, Assessment report, Filsuvez, https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/filsuvez-epar-public-assessment-report_en.pdf (data dostępu: 31.10.2024 r.)
Fine 2016	Fine J.D. <i>Epidemiology of Inherited Epidermolysis Bullosa Based on Incidence and Prevalence Estimates From the National Epidermolysis Bullosa Registry</i> . JAMA Dermatol. 2016 Nov 1;152(11):1231-1238
GUS 2024	Główny Urząd Statystyczny, <i>Biuletyn Statystyczny Nr 1/2024</i> https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/inne-opracowania/informacje-o-sytuacji-spoleczno-gospodarczej/biuletyn-statystyczny-nr-12024,4,146.html (data dostępu: 31.10.2024 r.)
GUS Ludność Piramida	Główny Urząd Statystyczny, <i>Struktura ludności według wieku od 1970 r.</i> https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-piramida/ (data dostępu: 31.10.2024 r.)
Has 2022	Has C., Hess M., Anemüller W. i in., <i>Epidemiology of inherited epidermolysis bullosa in Germany</i> . J Eur Acad Dermatol Venereol. 2023 Feb;37(2):402-410
IMiDz 2024	Dane uzyskane w porozumieniu z Zakładem Genetyki Medycznej Instytutu Matki i Dziecka z dnia 28.10.2024 r. (dane poufne)

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Kern 2023	Kern J.S., Sprecher E., Fernandez M.F. i in., <i>Efficacy and safety of Oleogel-S10 (birch triterpenes) for epidermolysis bullosa: results from the phase III randomized double-blind phase of the EASE study</i> . Br J Dermatol. 2023 Jan 23;188(1):12-21
NICE HST28	National Institute for Health and Clinical Excellence, <i>Highly Specialised Technology. Birch bark extract for treating skin wounds associated with dystrophic and junctional epidermolysis bullosa [ID1505]</i> , 2023
NFZ Otwarte Dane	https://www.gov.pl/web/cyfryzacja/otwarte-dane-dostep-standard-edukacja2 (data dostępu: 31.10.2024 r.)
Petrof 2022	Petrof G., Papanikolaou M., Martinez A.E. i in., <i>The epidemiology of epidermolysis bullosa in England and Wales: data from the national epidermolysis bullosa database</i> . Br J Dermatol. 2022 May;186(5):843-848
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2021 r. zmieniające rozporządzenie w sprawie priorytetów zdrowotnych
Statystyki NFZ	https://statystyki.nfz.gov.pl/Benefits/1a (data dostępu: 31.10.2024 r.)
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.)
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Wykaz leków refundowanych	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 września 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 października 2024 r.
Wytoczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytoczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016