

**AESTIMO**

# Analiza Wpływu na Budżet Płatnika

**HyQvia<sup>®</sup>**

**immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)**

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej

Wersja 1.2  
Kraków 2024

## Wykonawca

---

Aestimo s.c. Marcin Kaczor, Rafał Wójcik  
ul. Krakowska 36/3  
31-062 Kraków

[REDACTED]

[REDACTED]

Internet: <http://www.aestimo.eu>

E-mail: [biuro@aestimo.eu](mailto:biuro@aestimo.eu)

## Autorzy

---

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

## Konflikt interesów

---

Analiza została wykonana na zlecenie i sfinansowana przez firmę Takeda Pharma Sp. z o.o.

[REDACTED]

Wersja 1.2 – ostatnia aktualizacja dnia 22 grudnia 2024 r.

## Spis treści

Spis treści .....	3
Wykaz skrótów.....	5
Streszczenie .....	6
ANALIZA WPŁYWU NA BUDŻET PŁATNIKA .....	10
1 Cel analizy.....	11
2 Metodyka .....	11
2.1 Porównywane scenariusze .....	12
2.2 Perspektywa analizy.....	13
2.3 Horyzont czasowy .....	13
2.4 Aktualny sposób finansowania produktu leczniczego HyQvia i wnioskowane warunki objęcia refundacją .....	13
3 Populacja docelowa.....	16
3.1 Oszacowanie liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku .....	16
3.1.1 Oszacowanie epidemiologiczne .....	17
3.1.2 Oszacowanie na podstawie danych refundacyjnych NFZ .....	20
3.2 Oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana .....	23
3.3 Oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana .....	24
4 Struktura udziałów w liczbie leczonych pacjentów .....	25
4.1 Scenariusz istniejący .....	25
4.2 Scenariusz nowy .....	27
5 Analiza kosztów .....	30
5.1.1 Koszty jednostkowe leków .....	31
5.1.2 Zużycie leków .....	32
5.1.3 Koszty podania/wydania leków .....	34
5.1.4 Koszty diagnostyki i monitorowania .....	36
5.1.5 Koszty zdarzeń niepożądanych.....	37
6 Podsumowanie danych wejściowych modelu (wariant podstawowy) .....	37
7 Założenia wariantów analizy wrażliwości .....	38

8	Oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń .....	40
9	Wyniki analizy wpływu na budżet.....	41
9.1	Wariant podstawowy.....	41
9.1.1	Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	41
9.1.2	Bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.....	43
9.2	Wariant minimalny .....	45
9.2.1	Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	45
9.2.1	Bez uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	46
9.3	Wariant maksymalny .....	49
9.3.1	Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	49
9.3.2	Bez uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	50
9.4	Analiza wrażliwości .....	53
9.4.1	Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka.....	53
9.4.1	Bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka .....	55
10	Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych .....	56
11	Dyskusja i ograniczenia .....	57
12	Wnioski końcowe .....	59
13	Załączniki.....	61
13.1	Wkład autorów w opracowanie raportu .....	61
13.2	Zużycie immunoglobulin w populacji chorych na CIDP, w scenariuszu istniejącym i nowym	62
	Spis Tabel .....	64
	Spis Wykresów .....	66
	Piśmiennictwo .....	67

## Wykaz skrótów

AE	Analiza ekonomiczna
AKL	Analiza Kliniczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
APD	Analiza Problemu Decyzyjnego
AWA	Analiza weryfikacyjna
BIA	Analiza wpływu na budżet (z ang. <i>Budget Impact Analysis</i> )
CIDP	Przewlekła zapalna polineuropatia demielinizacyjna (z ang. <i>Chronic Inflammatory Demyelinating Polyneuropathy</i> )
DGL	Departament Gospodarki Lekami
fSClg	Immunoglobulina podskórna wspomagana hialuronidazą (z ang. <i>facilitated subcutaneous immunoglobulin</i> )
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HTA	<i>Health Technology Assessment</i>
ICD-10	Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych (z ang. <i>International Statistical Classification of Diseases and related Health Problems</i> )
IG	immunoglobuliny
IVIg	Immunoglobulina dożylna (z ang. <i>Intravenous Immunoglobulines</i> )
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PL	program lekowy
PPP	Perspektywa płatnika publicznego
PPP+P	Perspektywa wspólna płatnika i świadczeniobiorców
RCT	Badanie kliniczne z randomizacją i grupą kontrolną (z ang. <i>Randomized Controlled Trial</i> )
RSS	instrument dzielenia ryzyka (z ang. <i>Risk Sharing Scheme</i> )
SClg	Immunoglobulina ludzka do podania podskórnego (z ang. <i>Subcutaneous immunoglobulin</i> )

## Streszczenie

### Cel

Celem przeprowadzonej analizy było określenie prawdopodobnych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia) w przypadku podjęcia decyzji o refundacji produktu leczniczego HyQvia, składającego się z immunoglobuliny ludzkiej normalnej (Immunoglobulina 10% lub IG 10%) oraz rekombinowanej hialuronidazy ludzkiej (rHuPH20), do podania podskórnego (fSClg), u chorych na przewlekłą zapalną polineuropatię demielinizacyjną (z ang. *chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy*, CIDP), jako leczenia podtrzymującego po stabilizacji za pomocą immunoglobuliny do wlewów dożylnych (IVIg).

Analiza została wykonana na zlecenie firmy Takeda Pharma Sp. z o.o. w związku z planowanym złożeniem do ministra właściwego do spraw zdrowia wniosku o objęcie refundacją prezentacji leku:

- HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 100 ml
- HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 200 ml
- HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 25 ml
- HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 300 ml
- HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 50 ml

w ramach proponowanego programu lekowego „B.67. Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych (ICD-10: G61.0, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, M33.0, M33.1, M33.2)”.

### Metodyka

Wpływ na budżet płatnika oszacowano przez porównanie wydatków płatnika publicznego w dwóch alternatywnych scenariuszach:

- **scenariuszu istniejącym**, obrazującym stan aktualny, w którym pacjenci chorzy na przewlekłą zapalną polineuropatię demielinizacyjną mogą otrzymywać leczenie podtrzymujące immunoglobulinami dożylnymi (IVIg) lub podskórnymi (SClg), przy czym obecnie jedynym refundowanym standardowym preparatem podskórnym w ramach programu lekowego B.67 jest lek Hizentra. Jednocześnie produkt leczniczy HyQvia nie jest finansowany ze środków publicznych w rozważanym wskazaniu (MZ 18/12/2024).
- **scenariuszu nowym**, odpowiadającym sytuacji, w której minister właściwy do spraw zdrowia wyda pozytywną decyzję o finansowaniu ze środków publicznych terapii lekiem HyQvia we wnioskowanym wskazaniu (leczenie podtrzymujące CIDP), tj. w ramach istniejącego programu lekowego „B.67. Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych (ICD-10: G61.0, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, M33.0, M33.1, M33.2)”.

Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego HyQvia spowoduje przejmowanie udziałów obecnie stosowanych immunoglobulin (SClg i IVIg). Wynikiem inkrementalnej analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym i wydatkami w scenariuszu istniejącym dla każdego roku horyzontu czasowego. Horyzont czasowy objął trzy

pierwsze lata kalendarzowe od prognozowanego objęcia refundacją produktu leczniczego HyQvia, tj. przedział czasowy od 1 kwietnia 2025 r. do 31 marca 2028 r.

Oszacowanie liczebności populacji docelowej oparto o dane z corocznych sprawozdań Rady Narodowego Funduszu Zdrowia, dane z analizy weryfikacyjnej dla produktu leczniczego Hizen-tra oraz odnalezione dane literaturowe.

Udziały terapii stosowanych w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej oszacowano na podstawie

[REDACTED]

Analizę wykonano z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych. Uwzględniono koszty medyczne związane bezpośrednio z leczeniem CIDP:

- koszty lekowego terapii fSClg, SClg i IVlg;
- koszty podania/wydania leków;
- koszty diagnostyki i monitorowania.

Warunki cenowe dla leku HyQvia ustalono zgodnie z informacjami uzyskanymi od Wnioskodawcy, zgodnie z którymi proponowany jest instrument dzielenia ryzyka (RSS) [REDACTED]

[REDACTED]

Analizę wpływu na budżet uzupełniono o analizę aspektów etycznych, społecznych,

prawnych i organizacyjnych wynikających z decyzji dotyczącej finansowania produktów leczniczych HyQvia ze środków publicznych.

Analizę wykonano zgodnie z aktualnymi polskimi wytycznymi Oceny Technologii Medycznych, przygotowanymi przez Zespół Ekspertów działający we współpracy z Agencją Oceny Technologii Medycznych (AOTMiT 2016) oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2024 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 (MZ 24/10/2024). Wszystkie obliczenia wykonano w modelu obliczeniowym przygotowanym w arkuszu kalkulacyjnym programu Microsoft® Office Excel, stanowiącym załącznik do niniejszej analizy.

## Wyniki

### Liczebność populacji docelowej

W wariantcie podstawowym analizy, prognozowana średnioroczna liczba chorych z CIDP otrzymujących leczenie podtrzymujące z zastosowaniem immunoglobulin wynosi [REDACTED] pacjentów w Roku 1, [REDACTED] pacjentów w Roku 2 oraz [REDACTED] pacjentów w Roku 3.

Po uwzględnieniu udziałów docelowych terapią lekiem HyQvia, prognozowana liczba pacjentów leczonych z udziałem tego preparatu wynosi [REDACTED] w Roku 1, [REDACTED] w Roku 2 oraz [REDACTED] w Roku 3.

## Wpływ na budżet płatnika

### Z uwzględnieniem RSS

W przypadku podjęcia przez Ministra Zdrowia decyzji o refundacji leku HyQvia we wnioskowanym wskazaniu, prognozowane wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie podtrzymujące przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej [REDACTED] w przeciągu pierwszych trzech lat od rozpoczęcia refundacji rozpatrywanej interwencji w ramach wnioskowanego programu lekowego łącznie o [REDACTED].

Prognozowana wartość refundacji produktu leczniczego HyQvia w scenariuszu nowym wyniesie kolejno [REDACTED] w pierwszych trzech latach przyjętego horyzontu czasowego.

W wariantcie minimalnym w pierwszych trzech latach analizy inkrementalny koszt wynosi [REDACTED], przy czym kwota refundacji produktu leczniczego HyQvia wynosi w latach 1-3 kolejno [REDACTED].

W wariantcie maksymalnym wydanie pozytywnej decyzji o refundacji produktu leczniczego HyQvia wygeneruje w pierwszych trzech latach refundacji [REDACTED]. Kwota refundacji preparatu HyQvia wynosi [REDACTED].

### Bez uwzględnienia RSS

W przypadku podjęcia przez Ministra Zdrowia decyzji o refundacji leku HyQvia we wnioskowanym wskazaniu, prognozowane wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie podtrzymujące przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej [REDACTED] w łącznie w przeciągu trzech lat przyjętego horyzontu czasowego o [REDACTED].

Prognozowana wartość refundacji produktu leczniczego HyQvia w scenariuszu nowym wyniesie kolejno [REDACTED] w pierwszych trzech latach przyjętego horyzontu czasowego.

W wariantcie minimalnym w pierwszych trzech latach analizy inkrementalny koszt wynosi [REDACTED], przy czym kwota refundacji produktu leczniczego HyQvia wynosi w latach 1-3 kolejno [REDACTED]. Natomiast w wariantcie maksymalnym wydanie pozytywnej decyzji o refundacji produktu leczniczego HyQvia spowoduje [REDACTED] kosztów płatnika związanych z leczeniem podtrzymującym CIDP o [REDACTED]. Kwota refundacji preparatu HyQvia wynosi [REDACTED].

## Analiza wrażliwości

### Z uwzględnieniem RSS

Przeprowadzona analiza wrażliwości wykazała stabilność założeń przeprowadzonej analizy wpływu na budżet płatnika publicznego. Największe zmiany całkowitych wydatków płatnika na leczenie CIDP w przyjętym horyzoncie czasowym w scenariuszu nowym zaobserwowano w wariantcie zakładającym brak zastępowania IVIg przez produkt leczniczy HyQvia oraz przy przyjęciu dawki leku na podstawie średniego dawkowania leku w 2022 r., gdzie całkowity koszt terapii uległ obniżeniu o 57,0% względem wyniku analizy podstawowej.

### Bez uwzględnieniem RSS

Analogicznie jak w wariantcie uwzględniającym proponowany instrument dzielenia ryzyka, przeprowadzona analiza wrażliwości wykazała stabilność założeń przeprowadzonej analizy wpływu na budżet płatnika publicznego. Największą zmianę wyników względem wariantu



podstawowego uzyskano w wariantach obliczeniach przy założeniu alternatywnego zużycia immunoglobulin w leczeniu podtrzymującym CIDP. Umiarkowaną zmianę poniżej 5% otrzymano w scenariuszach zakładających obniżenie ceny jednostkowej preparatu HyQvia, co wiązało się z wygenerowaniem oszczędności dla płatnika publicznego oraz przy zmianie sposobu rozliczenia wizyt pacjentów w ośrodkach leczniczych na świadczenie hospitalizacyjne jednego dnia.

## Wnioski końcowe

Zastosowanie preparatu HyQvia w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej jest skuteczną i bezpieczną opcją terapeutyczną. Objęcie refundacji leku HyQvia będzie wiązało się z [REDAKTOWANE] Wyniki analizy obarczone są pewną niepewnością wynikającą m.in. z oszacowania populacji i określenia rzeczywistego zużycia immunoglobulin w leczeniu podtrzymującym pacjentów z CIDP, jednakże estymację oparto o rzeczywiste dane dla polskiego systemu zdrowia.

Objęcie refundacją produktu leczniczego HyQvia we wskazaniu leczenia CIDP pozwoli na rozszerzenie spektrum dostępnych terapii. Jednym z głównych problemów wskazanym przez pacjentów w leczeniu CIDP jest konieczność odbywania częstych wizyt w ośrodkach opieki medycznej, często znajdujących się w dużej odległości od miejsca zamieszkania. Możliwość podskórnego podawania immunoglobulin cechuje się zredukowaną liczbą ogólnoustrojowych działań niepożądanych w porównaniu z IVIg, w tym najbardziej uciążliwych dla pacjentów jak np. bóle głowy, nudności, niedokrwistość hemolityczna, które utrudniały przestrzeganie zaleceń lekarskich. HyQvia jest pierwszą i jedyną

immunoglobuliną do ułatwionego podawania podskórnego, z unikalną formacją, umożliwiającą podanie większych objętości w krótszym czasie (fSCIG). Charakteryzuje się innowacyjnym sposobem infuzji podskórnej, uwzględniającym wstępne zastosowanie rekombinowanej hialuronidazy, co umożliwia podawanie większych objętości i dawek immunoglobulin i przekłada się na większą biodostępność leku, mniejszą częstość infuzji, mniejszą liczbę miejsc wkłucia, krótszy czas podania, mniejsze zużycie zasobów medycznych i obciążenie chorego w porównaniu zarówno do terapii podtrzymującej formą dożylną immunoglobulin jak i dostępną obecnie immunoglobuliną podskórną.

**ANALIZA**

**WPŁYWU**

**NA BUDŻET PŁATNIKA**

**AE**

## 1 Cel analizy

Analizę przeprowadzono w celu określenia prawdopodobnych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia) w przypadku podjęcia decyzji o **objęciu refundacją** produktu HyQvia<sup>®</sup>, składającego się z immunoglobuliny ludzkiej normalnej (Immunoglobulina 10% lub IG 10%) oraz rekombinowanej hialuronidazy ludzkiej (rHuPH20), do podania podskórnego (fSCIg), u chorych na **przewlekłą zapalną polineuropatię demielinizacyjną** (z ang. *chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy*, CIDP), jako leczenia podtrzymującego po stabilizacji za pomocą immunoglobuliny do wlewów dożylnych (IVIg), w programie lekowym B.67. „Leczenie immunoglobulinami chorób neurologicznych (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, G25.82, M33.0, M33.1, M33.2)” i objętych grupą limitową „1066.1, Immunoglobulinum humanum subcutaneum” (MZ 18/12/2024).

Analiza została wykonana na zlecenie i sfinansowana przez firmę Takeda Pharma Sp. z o.o.

## 2 Metodyka

Wykonana analiza obejmowała następujące etapy obliczeniowe:

- opracowanie prognoz dotyczących liczby chorych z CIDP otrzymujących terapię podtrzymującą immunoglobuliną w formie podskórnej, opartych na przeglądzie danych epidemiologicznych oraz dostępnych danych refundacyjnych raportowanych przez NFZ dla programu B.67. (komunikaty DGL, uchwały Rady NFZ), [REDACTED];
- opracowanie prognoz udziałów leku HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego rozszerzenia wskazań refundacyjnych o populację chorych z CIDP (identycznych jak dla leku Hizentra) w programie B.67.;
- ustalenie kosztów jednostkowych poszczególnych prezentacji produktów fSCIg i SCIg w scenariuszu istniejącym (urzędowe ceny zbytu zgodne z obowiązującym obwieszczeniem Ministra Zdrowia na dzień 1 stycznia 2025 r.) oraz w scenariuszu nowym (nowe, wnioskowane ceny produktu HyQvia i propozycja warunków RSS), a także kosztów związanych z podaniem oraz diagnostyką/monitorowaniem leczenia chorych z CIDP;
- obliczenie przewidywanych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych w porównywanych scenariuszach i obliczenie kosztu inkrementalnego

(tj. różnicy między wydatkami w scenariuszu nowym a wydatkami w scenariuszu istniejącym), w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego.

## 2.1 Porównywane scenariusze

W analizie wpływu na budżet porównano wydatki płatnika publicznego wynikające z podjęcia decyzji o rozszerzeniu refundacji leku HyQvia o nowe wskazanie - leczenie podtrzymujące chorych na przewlekłą zapalną polineuropatię demielinizacyjną (**scenariusz nowy**) z wydatkami płatnika w sytuacji będącej przedłużeniem obecnego zakresu i zasad finansowania na lata horyzontu czasowego analizy (**scenariusz istniejący**).

Obecnie, całe zapotrzebowanie na immunoglobuliny podskórne do leczenia podtrzymującego chorych z CIDP realizowane jest przez produkt Hizentra, który refundowany jest w leczeniu CIDP w ramach programu lekowego B.67 od 1 września 2020 r. (MZ 22/08/2020), przy czym wykazuje ono tendencje wzrostową. W analizie podstawowej przyjęto, że pozytywna decyzja dotycząca refundacji leku HyQvia w leczeniu chorych z CIDP spowoduje:

- w obrębie przyrastającej liczby terapii podtrzymujących z udziałem immunoglobulin podskórnych – **zmniejszenie się udziału produktu Hizentra** kosztem HyQvia;
- w obrębie zmniejszającej się liczby terapii podtrzymujących z udziałem immunoglobulin dożylnych – **dodatkowe zastępowanie terapii IVIg** przez lek HyQvia (lek Hizentra nie może zostać zastosowany u wszystkich chorych wymagających/kwalifikujących się do terapii podtrzymującej SClg), przy czym całkowita liczba pacjentów leczonych otrzymujących leczenie immunoglobulinami (IVIg i SClg) z powodu CIDP **nie ulegnie zmianie**.

Powyższe czynniki uwzględniono w analizie na etapie projektowania scenariuszy nowego i istniejącego:

- **Scenariusz istniejący (aktualny)** odpowiada sytuacji, w której produkt HyQvia nie jest objęty refundacją w leczeniu podtrzymującym chorych z CIDP. Aktualnie w rozważanym wskazaniu chorzy mogą otrzymywać w ramach programu lekowego leczenie preparatem Hizentra (SClg) oraz immunoglobulinami podawanymi dożylnie (IVIg) (MZ 18/12/2024);
- **Scenariusz nowy** odpowiada sytuacji, w której Minister właściwy do spraw zdrowia wyda pozytywną decyzję o objęciu refundacją produktu leczniczego HyQvia zgodnie z wnioskowanym wskazaniem. W scenariuszu nowym wnioskowana interwencja zastąpi częściowo lub całkowicie technologie opcjonalne stosowane w rozważanej populacji docelowej.

## 2.2 Perspektywa analizy

Zgodnie z wymaganiami minimalnymi dla analiz HTA w Polsce (MZ 24/10/2023) oraz wytycznymi AOT-MiT (AOTMiT 2016) ze względu na pełne finansowanie świadczeń zdrowotnych w zakresie programów lekowych z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, w analizie przyjęto perspektywę podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (w skrócie: perspektywa płatnika publicznego, PPP).

Należy zauważyć, że uwzględnione w analizie kategorie kosztowe nie obejmują dopłaty pacjentów, w związku, z czym przyjęta perspektywa płatnika publicznego jest równoważna z perspektywą wspólną płatnika publicznego i świadczeniobiorców (PPP = PPP+P).

## 2.3 Horyzont czasowy

W analizie wpływu na budżet przyjęto 3-letni horyzont czasowy obejmujący okres od przewidywanego momentu wprowadzenia wnioskowanej zmiany zakresu wskazań refundowanych i ceny leku HyQvia (ustalonego na 1 kwietnia 2025 r.), tj. przedział czasowy obejmujący okres od 1 kwietnia 2025 do 31 marca 2028 r. Uzasadnieniem przejętej długości horyzontu czasowego jest wnioskowanie o wskazanie, w którym już od kilku lat refundowany jest produkt Hizentra, również zawierający immunoglobuliny w postaci podskórnej, a jednocześnie w analizie klinicznej nie wykazano różnic w skuteczności i bezpieczeństwie między lekami HyQvia i Hizentra, przy zbliżonych kosztach terapii. Należy więc oczekiwać, że równowaga rynkowa po objęciu refundacją produktu HyQvia u chorych z CIDP zostanie osiągnięta najpóźniej po trzech latach od jej wprowadzenia, a oba leki względnie równomiernie podzielą się rynkiem, przy czym łączny wpływ na budżet wnioskowanej zmiany powinien być nieznaczący.

## 2.4 Aktualny sposób finansowania produktu leczniczego HyQvia i wnioskowane warunki objęcia refundacją

Aktualnie produkt leczniczy HyQvia jest finansowany ze środków publicznych ramach programów lekowych „B.17 Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci (ICD-10 D80, W TYM: D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9; D81 W CAŁOŚCI; D82, W TYM: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83, W TYM: D83.0, D83.1, D83.3, D83.8, D83.9; D89)” oraz „B.62 Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D 80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9; D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1,

D83.8, D83.9; D89.9)”. Warunki refundacji zgodne z przedstawionymi w Obwieszczeniu Ministra Zdrowia zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 1. Aktualne warunki refundacji produktu leczniczego HyQvia (MZ 18/12/2024).

Nazwa i zawartość opakowania	Kod GTIN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Wysokość limitu finansowania	Dopłata świadczeniobiorcy (poziom odpłatności)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 100 ml	05909991072896	3 000,00 zł	3 240,00 zł	3 434,40 zł	3 434,40 zł	0,00 zł (bezpłatny)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 200 ml	05909991072902	6 000,00 zł	6 480,00 zł	6 868,80 zł	6 868,80 zł	0,00 zł (bezpłatny)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 25 ml	05909991072872	750,00 zł	810,00 zł	858,60 zł	858,60 zł	0,00 zł (bezpłatny)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 300 ml	05909991072926	9 000,00 zł	9 720,00 zł	10 303,20 zł	10 303,20 zł	0,00 zł (bezpłatny)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 50 ml	05909991072889	1 500,00 zł	1 620,00 zł	1 717,20 zł	1 717,20 zł	0,00 zł (bezpłatny)

Wnioskowane jest rozszerzenie finansowania produktu leczniczego HyQvia o zastosowanie w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej demielinizacyjnej polineuropatii. W związku zakładaną refundacją leku HyQvia w ramach programu lekowego przyjęto, że będzie on wydawany świadczeniobiorcom bezpłatnie.

Wnioskowane warunki refundacji produktu leczniczego HyQvia przedstawiono w kolejnej tabeli.

Tabela 2. Wnioskowane ceny urzędowe produktu leczniczego HyQvia.

Nazwa i zawartość opakowania	Kod GTIN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Wysokość limitu finansowania	Dopłata świadczeniobiorcy (poziom odpłatności)
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 100 ml	05909991072896	████████	████████	████████	████████	████████
HyQvia, roztwór do infuzji, 100	05909991072902	████████	████████	████████	████████	████████

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

Nazwa i zawartość opakowania	Kod GTIN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Wysokość limitu finansowania	Dopłata świadczeniobiorcy (poziom odpłatności)
mg/ml, 1 fiol. a 200 ml						
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 25 ml	05909991072872					
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 300 ml	05909991072926					
HyQvia, roztwór do infuzji, 100 mg/ml, 1 fiol. a 50 ml	05909991072889					

Wnioskowane warunki objęcia refundacją leku HyQvia we wskazaniu do leczenia podtrzymującego przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej obejmują instrument dzielenia ryzyka, [REDACTED]

[REDACTED]. Szczegóły zestawiono w poniższej tabeli.

Tabela 3. Wnioskowane warunki objęcia refundacją produktu leczniczego HyQvia.

Warunek refundacji	Opakowania jednostkowe				
Substancja czynna	immunoglobulina ludzka normalna				
Dawka	10,0 g	20,0 g	2,5 g	30,0 g	5,0 g
Postać farmaceutyczna	roztwór do infuzji do podania podskórnego				
Zawartość opakowania jednostkowego	1 fiol. a 100 ml	1 fiol. a 200 ml	1 fiol. a 25 ml	1 fiol. a 300 ml	1 fiol. a 50 ml
Kategoria dostępności refundacyjnej	W ramach programu lekowego				
Cena zbytu netto <sup>1)</sup>					
Urzędowa cena zbytu <sup>2)</sup>					
Cena hurtowa <sup>3)</sup>					
Grupa limitowa <sup>4)</sup>	1066.1, Immunoglobulinum humanum subcutaneum				
Podstawa limitu	Nie	Nie	Nie	Nie	Nie
PDD <sup>5)</sup>	10,0 g	20,0 g	2,5 g	30,0 g	5,0 g
Liczba PDD w opakowaniu	1	1	1	1	1
Cena hurtowa / PDD					
Wysokość limitu finansowania					
Poziom odpłatności					

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)





- oszacowanie epidemiologiczne, w oparciu o zidentyfikowane w literaturze wskaźniki epidemiologiczne,
- oszacowanie na podstawie danych refundacyjnych NFZ.

W pierwszej kolejności przeanalizowano dane epidemiologiczne w celu określenia populacji docelowej chorych na CIDP, która mogłaby kwalifikować się do terapii podtrzymującej immunoglobulinami w formie podskórnej. W następnym kroku, w oparciu o dane refundacyjne publikowane przez Narodowy Fundusz Zdrowia, wykonano prognozowanie liczby chorych z CIDP rzeczywiście otrzymujących terapię podtrzymującą w ramach leczenia finansowanego w programie B.67. (IVIg i SClg).

Oszacowanie populacji przeprowadzono na pełne lata kalendarzowe (2025-2028), a następnie na potrzeby analizy wyniki przeliczono na lata przyjętego horyzontu czasowego. Wszystkie obliczenia dostępne są w modelu farmakoekonomicznym, który stanowi załącznik do niniejszej analizy.

### 3.1.1 Oszacowanie epidemiologiczne

Roczną liczebność populacji docelowej dla wnioskowanej technologii oszacowano w oparciu o prognozy dotyczące łącznej liczebności populacji polskiej (*GUS 2023*). Poniższa tabela zawiera aktualne prognozy GUS dotyczące ludności Polski w najbliższych latach.

Tabela 4. Ludność Polski (*GUS 2023*).

2023	2024	2025	2026	2027	2028
37 627 720	37 490 333	37 355 926	37 219 500	37 080 288	36 939 510

Przewidywana liczebność ogólnej populacji polskiej wyniesie odpowiednio 37,4 mln osób w 2025 roku, 37,2 mln w 2026 roku, 37,1 mln osób w 2027 roku oraz 36,9 mln osób w 2028 roku.

Następnie wykonano przegląd literatury w celu identyfikacji źródeł raportujących aktualne dane na temat chorobowości CIDP, w szczególności w Polsce lub innych krajach europejskich. W poniższej tabeli przedstawiono dane dotyczące chorobowości obliczone w oparciu o wyniki odnalezione w przedstawionych opracowaniach, opublikowanych w ciągu ostatnich 5 lat.

Tabela 5. Chorobowość CIDP.

Chorobowość	Źródło	Komentarze/Uwagi
0,00281%	<i>Broers 2019</i>	Przegląd systematyczny w bazach Embase, Medline Epub, Cochrane, Central, Web of Science and Google Scholar z data odcięcia 18 maja 2017 r. Włączono 9 źródeł z informacjami dot. chorobowości ( <i>prevalence</i> ) CIDP:

Chorobowość	Źródło	Komentarze/Uwagi
		<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Irlandia, dane na rok 2013 (<i>Lefter 2017</i>);</li> <li>▪ Wielka Brytania, dane na rok 2008 (<i>Rajabally 2009, Mahdi-Rogers 2014</i>);</li> <li>▪ Japonia, dane na lata 2004/2005 (<i>Iijima 2008</i>);</li> <li>▪ Włochy, dane na rok 2001 (<i>Chiò 2007</i>);</li> <li>▪ Norwegia, dane na rok 1999 (<i>Mygland 2001</i>);</li> <li>▪ Australia, dane na rok 1996 (<i>McLeod 1999</i>);</li> <li>▪ Wielka Brytania, dane na rok 1995 (<i>Lunn 1999</i>);</li> <li>▪ Japonia, dane na rok 1992 (<i>Kusumi 1995</i>).</li> </ul> <p>Na podstawie włączonych badań, metaanalizowana częstość występowania CIDP wyniosła dla populacji ogólnej 2,81 na 100 000 osób (95% CI: 1,58; 4,39).</p>
0,00555%	<i>Querol 2021</i>	<p>Przegląd systematyczny dotyczący obciążenia chorobą CIDP, w bazach Pubmed i Embase, w okresie od maja 2009 r. do maja 2019 r. Uwzględnione publikacje zostały podzielone tematycznie: epidemiologia (n = 9), obciążenie humanistyczne (n = 7), obecne metody leczenia (n = 42) i obciążenie ekonomiczne (n = 8). Chorobowość CIDP mieściła się w przedziale 0,8–10,3 na 100 000 osób, co oszacowano na podstawie 4 źródeł:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Przeglądu systematycznego z metaanalizą <i>Broers 2019</i> (opisany wyżej);</li> <li>▪ Podręcznika dot. neurologii klinicznej (rozdział dot. neuropatii obwodowych <i>Hanewinkel 2016</i>);</li> <li>▪ Przedstawienia aktualnych koncepcji diagnostyki i leczenia CIDP (<i>Ryan 2018</i>);</li> <li>▪ Przedstawienie epidemiologii przewlekłych neuropatii zapalnych w południowo-wschodniej Anglii (<i>Mahdi-Rogers 2014</i>).</li> </ul>
0,0037%	<i>Orpha 2023</i>	Dane bibliograficzne z raportu Orphanet dot. występowaniów i zapadalności na choroby rzadkie, opublikowane w listopadzie 2023 r (dane europejskie).
0,005%	<i>Park 2022</i>	Badanie częstości występowania CIDP i MMN (wielogniskowa neuropatia ruchowa) w północnym Queensland i Tasmanii
0,007%	<i>Broers 2022</i>	Badanie epidemiologiczne CIDP w Niderlandach, w latach 2008-2017
0,004812%	Średnia	Średnia obliczona z powyższych wyników

Ze względu na brak odnalezionych opracowań w populacji Polskiej, do oszacowania chorobowości wykorzystano odsetek z najbardziej aktualnej publikacji *Broers 2022* (0,007%), w której przedstawiono wyniki obszernego retrospektywnego badania epidemiologicznego, do którego wykorzystano dane pacjentów z bazy danych *Integrated Primary Care Information* (IPCI) z lat 2008-2017.

W kolejnym kroku oszacowano odsetek chorych na CIDP, u których wykazano brak skuteczności leczenia kortykosteroidami lub wystąpiły przeciwwskazania do ich stosowania. W tym celu wykonano przegląd zasobów internetowych, poszukując w pierwszej kolejności danych polskich, a następnie europejskich. Dane dotyczące chorych na CIDP z niepowodzeniem leczenia glikokortykosteroidami liczone w oparciu o wyniki odnalezione w przedstawionych opracowaniach podsumowano w kolejnej tabeli.

Tabela 6. Odsetek chorych na CIDP z niepowodzeniem leczenia glikokortykosteroidami.

Udział chorych	Źródło	Komentarze/Uwagi
52,4%	<i>Nobile-Orazio 2012</i>	Badanie RCT dotyczące skuteczności terapii kortykosteroidów w leczeniu CIDP
40,0%	<i>van Lieferloo 2018</i>	Wieloośrodkowe badanie retrospektywne, dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa prednizolonu, deksametazonu i metyloprednizolonu
34,5%	<i>Querol 2021</i>	Przegląd systematyczny dotyczący obciążenia chorobą CIDP, w bazach Pubmed i Embase, w okresie od maja 2009 r. do maja 2019 r
40,0%	<i>van Schaik 2010</i>	Badanie RCT <i>PREDICT</i> (deksametazon w dużych dawkach vs prednizolon w leczeniu CIDP)
36,0%	<i>Cocito 2010</i>	Ocena retrospektywna wpływu terapii immunologicznych u pacjentów z CIDP
40,6%	Średnia	Średnia obliczona z powyższych wyników

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono danych dotyczących chorych w populacji Polskiej, w związku z czym w oszacowaniu przyjęto średnią z danych w odnalezionych źródłach (40,6%).

Przyjmując założenie, że chorzy na CIDP, u których niemożliwe jest zastosowanie terapii glikokortykosteroidami, w następnej kolejności otrzymają terapię immunoglobulinami w formie wlewów dożylnych (IVIg), należało ustalić u ilu spośród nich wystąpi stabilizacja choroby po leczeniu IVIg. Na podstawie danych z badania RCT *PATH* (*van Schaik 2018*) oszacowano, że u 89% chorych osiągnięta jest stabilizacja choroby po leczeniu IVIg. Wyniki badania klinicznego *PATH* były już wykorzystywane do oszacowania populacji docelowej w analizie dla leku Hizentra (immunoglobulina ludzka normalna do wstrzykiwań podskórnych [SCIg]) w tym samym wskazaniu, pozytywnie zwalidowanej przez AOTMiT (*AWA Hizentra 2020*) – ponieważ nie odnaleziono bardziej adekwatnych opracowań, skorzystano z tego źródła.

Wyniki oszacowania populacji docelowej w oparciu o dane epidemiologiczne w kolejnych latach analizy podsumowano poniżej.

Tabela 7. Oszacowanie epidemiologiczne liczebności populacji docelowej.

Parametr	%	2024	2025	2026	2027	2028	Źródło
Ludność w Polsce (GUS)	-	37 490 333	37 355 926	37 219 500	37 080 288	36 939 510	<i>GUS 2023</i>
Chorobowość CIDP w Polsce	0,007%	2 624	2 615	2 605	2 596	2 586	<i>Broers 2022</i>
Odsetek chorych na CIDP z niepowodzeniem terapii GKS	40,58%	1 065	1 061	1 057	1 053	1 049	Średnia z odnalezionych wyników (zob. Tabela 6)
Udział chorych na CIDP ze stabilizacją po IVIg	89,12%	949	946	942	939	935	<i>van Schaik 2018</i>

Parametr	%	2024	2025	2026	2027	2028	Źródło
Liczebność wnioskowanej populacji docelowej wg oszacowania epidemiologicznego		949	946	942	939	935	

Liczebność wnioskowanej populacji docelowej, kwalifikującej się do terapii podtrzymującej SCIg wg oszacowania epidemiologicznego w kolejnych latach przyjętego horyzontu analizy (2025-2028) wyniesie odpowiednio 946, 942, 939 i 935 chorych.

### 3.1.2 Oszacowanie na podstawie danych refundacyjnych NFZ

Łączną liczbę chorych leczonych immunoglobulinami w ramach programu lekowego B.67 „Leczenie immunoglobulinami chorób neurologicznych (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, G25.82, M33.0, M33.1, M33.2)” w kolejnych latach horyzontu analizy oszacowano wykorzystując regresję liniową w oparciu o dane dotyczące liczby pacjentów objętych leczeniem immunoglobulinami w ramach programu lekowego B.67 w latach 2016-2024, udostępniane w corocznych sprawozdaniach Rady NFZ dotyczących działalności Narodowego Funduszu Zdrowia (UR NFZ 4/2017/III, UR NFZ 2/2018/III, UR NFZ 3/2019/III, UR NFZ 6/2020/III, UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV). Jako że w obecnej chwili dla 2024 r. dostępne są wyłącznie dane za pierwsze półrocze konieczne było oszacowanie liczby pacjentów w całym 2024 r. Ekstrapolację przeprowadzono obliczając średni wzrost liczby leczonych lekiem Hizentra w programie B.67 raportowanych w sprawozdaniach Rady NFZ za II półrocze w latach 2021-2023, który przyłożono do danych za I kwartał 2024 r. Szczegółowe obliczenia przedstawia kolejna tabela.

Tabela 8. Oszacowanie liczby pacjentów leczonych lekiem Hizentra w ramach programu B.67 w 2024 r.

	I 2021	II 2021	I 2022	II 2022	I 2023	II 2023	I 2024	II 2024
Liczba leczonych Hizentra w B.67.	962	1 338	847	1 417	1 208	1 722	1 386	2 074
Wzrost na koniec II półrocza		139%		167%		143%		150% (średnia)

W tabeli poniżej przedstawiono prognozowane liczby osób leczonych w kolejnych latach w ramach programu lekowego B.67.

Tabela 9. Liczba osób leczonych immunoglobulinami w ramach programu lekowego B.67 (dane rzeczywiste + prognoza; źródło: Sprawozdania Rady NFZ).

2023	2024	2025	2026	2027	2028
1 722	2 074	2 255	2 357	2 460	2 562

W kolejnym kroku oszacowano liczbę chorych na przewlekłą zapalną demielinizacyjną polineuropatię, leczonych w ramach programu lekowego B.67. W tym celu wykorzystano oszacowanie przedstawione w analizie weryfikacyjnej wniosku refundacyjnego dla leku Hizentra (*AWA Hizentra 2020*, w oparciu o dane NFZ), według którego w latach 2016-2018 liczba chorych objęta leczeniem w programie wynosiła odpowiednio 484, 611 i 616. Obliczono średnią liczbę chorych w oparciu o powyższe dane (49,2%) i przyjęto ją jako stały wskaźnik w kolejnych latach horyzontu analizy. Warto zaznaczyć, że ze względu na wykorzystanie liczby wszystkich pacjentów objętych leczeniem w ramach programu B.67 (przyjęto konserwatywnie, że wszyscy chorzy objęci leczeniem w programie B.67 to chorzy na CIDP), dane te mogą być nieco zawyżone.

Odsetek chorych na CIDP, którzy charakteryzują się ustabilizowaną chorobą po terapii immunoglobulinami w podaniu dożylnym oszacowano na 89,12% na podstawie danych z badania RCT *PATH* (*van Schaik 2018*). [REDACTED]

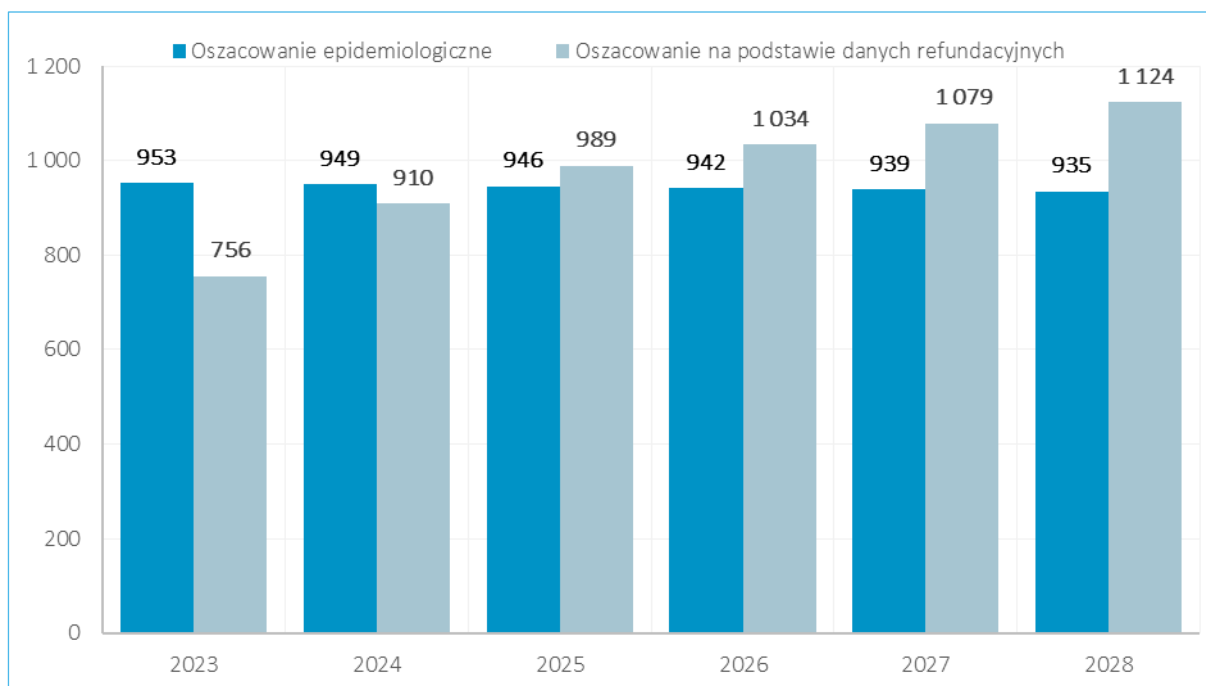
Wyniki oszacowania populacji docelowej w oparciu o dane refundacyjne NFZ w kolejnych latach analizy podsumowano poniżej.

Tabela 10. Oszacowanie liczebności populacji docelowej w oparciu o dane NFZ.

Parametr		2024	2025	2026	2027	2028	Źródło
Liczba osób objętych leczeniem immunoglobulinami w ramach PL B.67	-	2 074	2 255	2 357	2 460	2 562	UR NFZ
Liczba chorych na CIDP leczonych immunoglobulinami w ramach PL B.67	49,24%	1 021	1 110	1 161	1 211	1 262	AWA Hizentra 2020
Udział chorych na CIDP ze stabilizacją po IVIg	89,12%	910	989	1 034	1 079	1 124	van Schaik 2018
<b>Liczebność wnioskowanej populacji docelowej wg danych refundacyjnych NFZ</b>		<b>910</b>	<b>989</b>	<b>1 034</b>	<b>1 079</b>	<b>1 124</b>	

Liczebność wnioskowanej populacji docelowej, kwalifikującej się do terapii podtrzymującej SClg, w oszacowaniu na podstawie danych ze sprawozdań z działalności NFZ w kolejnych latach przyjętego horyzontu analizy (2025-2028) wyniesie odpowiednio **989, 1 034, 1 079 i 1 124** chorych. Na kolejnym wykresie zestawiono wyniki oszacowania epidemiologicznego oraz na podstawie danych refundacyjnych.

Wykres 1. Oszacowanie liczebności populacji docelowej.



Porównując uzyskane wartości z oszacowaniem przeprowadzonym w oparciu o dane epidemiologiczne można zauważyć, że są one zbliżone co może oznaczać, że wysoki odsetek chorych z CIDP kwalifikujących się do leczenia podtrzymującego immunoglobulinami, faktycznie objęty jest takim leczeniem.

Według danych udostępnionych na portalu [statystyki.nfz.gov.pl](https://statystyki.nfz.gov.pl) oraz w sprawozdaniach Rady NFZ dotyczących działalności Narodowego Funduszu Zdrowia, liczba pacjentów leczonych immunoglobulinami w podaniu podskórnym (Hizentra) jest znacznie niższa od oszacowanej liczebności chorych kwalifikujących się do leczenia podtrzymującego SCIg – pod koniec 2021 r. leczeniem było objętych 11 pacjentów (*UR NFZ 3/2022/IV*), pod koniec 2022 r. 45 pacjentów (*UR NFZ 8/2023/IV*), natomiast z końcem 2023 r. było to 71 pacjentów (*UR NFZ 5/2024/IV*).

[REDAKTOWANE] . Liczebność w wariantach podstawowym stanowią wartości średnie liczebności oszacowanych w wariantach minimalnym i maksymalnym – wyniki podsumowano w tabeli poniżej.

Tabela 11. Oszacowanie liczebności populacji otrzymującej leczenie immunoglobulinami podskórnymi w oparciu o dane NFZ (lata kalendarzowe).

Parametr	2025	2026	2027	2028
Wariant podstawowy	■	■	■	■
Wariant minimalny	■	■	■	■
Wariant maksymalny	■	■	■	■

Jako że w analizie podstawowej założono rozpoczęcie refundacji od 1 kwietnia 2025 r. liczebność populacji docelowej w danym roku obliczeniowym oszacowano jako 75% pacjentów roku kalendarzowego, w którym rozpoczyna się rok obliczeniowy oraz 25% pacjentów z następnego roku (przesunięcie o kwartał).

Tabela 12. Oszacowanie liczebności populacji docelowej w oparciu o dane NFZ (lata horyzontu czasowego).

Parametr	Rok 1		Rok 2		Rok 3	
	SClg	IVIg	SClg	IVIg	SClg	IVIg
Wariant podstawowy	■	■	■	■	■	■
Wariant minimalny	■	■	■	■	■	■
Wariant maksymalny	■	■	■	■	■	■

W poniższej tabeli prognozowaną liczebność populacji docelowej przedstawiono dodatkowo w podziale na terapię SClg i IVIg (scenariusz istniejący). Ponieważ w analizie zdecydowano się uwzględnić również częściowe zastępowanie terapii IVIg, podział liczby pacjentoterapii w scenariuszu nowym jest zgodny z oszacowaniami, które zawiera Rozdział 4.2.

### 3.2 Oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Aktualnie produkt leczniczy HyQvia jest refundowany w Polsce w ramach programów lekowych (MZ 18/12/2024):

- B.17. „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci (ICD-10 D80, w tym: D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9; D81 W CAŁOŚCI; D82, W TYM: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83, W TYM: D83.0, D83.1, D83.3, D83.8, D83.9; D89)”;
- B. 62. „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80, w tym D 80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D 80.6, D80.8, D80.9; D81.9; D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”.

Zgodnie z najnowszymi danymi z Uchwał Rady NFZ w I półroczu 2024 roku immunoglobulinami podawanymi podskórnie w programie lekowym B.17 było leczonych 386 chorych, natomiast w programie B.62 – 646 chorych (UR NFZ 5/2024/IV).

Nie odnaleziono danych pozwalających na dokładne obliczenie liczebności chorych stosujących terapię produktem HyQvia w wymienionych programach lekowych, w związku z czym wykorzystano informacje dotyczące kosztów rocznych refundacji immunoglobulin podskórnych, publikowane w raportach refundacyjnych Centrali NFZ (dane za I półrocze 2024 rok; DGL 02/09/2024), w celu określenia udziałów leku HyQvia względem pozostałych immunoglobulin do podania podskórnego. Zgodnie z obliczeniami, udział produktu leczniczego HyQvia wśród refundowanych immunoglobulin podskórnych wyniósł 39% w 2024 roku.

Wykorzystując powyższe dane oszacowano, że terapię produktem leczniczym HyQvia otrzymuje średnio 150 chorych w ramach programu B.17 oraz 251 w ramach programu B.62.

### 3.3 Oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana

Jak wspomniano w rozdziale powyżej, produkt leczniczy HyQvia jest obecnie refundowany w Polsce w ramach programów lekowych (MZ 18/12/2024):

- B.17. „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci (ICD-10 D80, w tym: D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9; D81 W CAŁOŚCI; D82, W TYM: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83, W TYM: D83.0, D83.1, D83.3, D83.8, D83.9; D89)”;
- B. 62. „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności (PNO) u pacjentów dorosłych (ICD-10: D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9; D81.9; D 82 w tym: D 82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9; D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.8, D83.9; D89.9)”.

Zgodnie z najnowszymi danymi z Uchwał Rady NFZ w 2022 i 2023 roku w programie lekowym B.17 immunoglobulinami w podaniu podskórnym było leczonych odpowiednio 437 i 438 chorych, natomiast w programie B.62 – 584 i 629 chorych. Biorąc pod uwagę dostępne dane roczna liczba chorych leczonych w ramach tych programów lekowych wzrosła o 1 chorego w populacji dzieci oraz o 45 dorosłych z PNO. Zakładając, że trend ten się utrzyma w kolejnych latach, prognozowana liczba chorych



w 2024 roku leczonych w ramach programu B.17 wyniesie 439 pacjentów, a w programie B.62 będzie równa 674 chorych (UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV).

Dodatkowo zgodnie z wnioskiem refundacyjnym populację docelową stanowią chorzy na przewlekłą zapalną demielinizacyjną polineuropatię, u których uzyskano stabilizację za pomocą IVIg. Liczebność wnioskowanej populacji docelowej w 2024 roku oszacowano na 790 pacjentów przy założeniu, że wszyscy pacjenci kwalifikowaliby się do terapii z wykorzystaniem immunoglobulin podawanych podskórnie.

Roczna liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana wynosi zatem około 1 903 w oszacowaniu na 2024 rok.

## 4 Struktura udziałów w liczbie leczonych pacjentów

### 4.1 Scenariusz istniejący

Aktualnie lek HyQvia nie jest finansowany ze środków publicznych w leczeniu immunomodulacyjnym u chorych na przewlekłą zapalną polineuropatię demielinizacyjną w ramach programu. W konsekwencji udziały leku HyQvia w scenariuszu istniejącym we wnioskowanym wskazaniu wyniosą 0% rocznie w przyjętym horyzoncie czasowym.

Aktualnie leczenie CIDP za pomocą immunoglobulin podskórnych realizowane jest w ramach programu lekowego B.67. Obecnie jedynym preparatem refundowanym w programie lekowym B.67. i objętym grupą limitową „1066.1, Immunoglobulinum humanum subcutaneum” jest lek Hizentra (MZ 18/12/2024), w związku z czym przyjęto, że 100% udziałów immunoglobulin podskórnych w rynku stanowi produkt leczniczy Hizentra.

Wykorzystując dane dotyczące rozliczonych jednostek rozliczeniowych, udostępniane w corocznych sprawozdaniach Rady NFZ (dane z lat 2020 – 2023: UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV UR, NFZ 5/2024/IV), obliczono udziały poszczególnych opakowań leku Hizentra, refundowanych w ramach programu lekowego B.67.

Tabela 13. Udziały opakowań leku Hizentra w scenariuszu istniejącym.

EAN	Preparat	Udział		
		1. rok	2. rok	3. rok
05909990869572	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 10 ml	13,20%	13,20%	13,20%

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

EAN	Preparat	Udział		
		1. rok	2. rok	3. rok
05909990869657	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 20 ml	31,97%	31,97%	31,97%
05909990869541	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 5 ml	1,52%	1,52%	1,52%
05909991067380	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 50 ml	53,31%	53,31%	53,31%
<b>łącznie</b>		<b>100,0%</b>	<b>100,0%</b>	<b>100,0%</b>

W następnym kroku w oparciu o oszacowanie liczebności populacji docelowej (zob. Rozdział 3.1.2) prognozowano liczebność chorych, którzy realnie zostaną objęci terapią podtrzymującą w kolejnych latach horyzontu analizy.

Tabela 14. Liczebność wnioskowanej populacji docelowej – scenariusz istniejący (lata refundacyjne)

Terapia	I rok	II rok	III rok
<b>Udziały poszczególnych terapii</b>			
SCiG (Hizentra)	■	■	■
fSCiG (HyQvia)	■	■	■
IVIg	■	■	■
<b>Liczba pacjentów z CIDP w podziale na stosowane terapie SCiG lub IVIg</b>			
SCiG (Hizentra)	■	■	■
fSCiG (HyQvia)	■	■	■
IVIg	■	■	■

W scenariuszu istniejącym terapię SCiG w kolejnych latach otrzyma [REDAKTOWANE] chorych. Pozostali pacjenci ([REDAKTOWANE]) będą nadal przyjmować immunoglobuliny w infuzji dożylniej.

Zgodnie z przyjętymi założeniami, produkt leczniczy HyQvia nie jest objęty refundacją w scenariuszu istniejącym, zatem żaden z pacjentów nie otrzyma terapii fSCiG.

Dodatkowo w oparciu o dane dotyczące zrefundowanych jednostek rozliczeniowych w ramach programów lekowych, w których finansowane są SCiG oraz fSCiG (tj. B.17, B.62, B.67), udostępniane w corocznych sprawozdaniach Rady NFZ dotyczących działalności Narodowego Funduszu Zdrowia (dane z lat 2020 – 2024: UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV), oszacowano zużycie immunoglobulin (w gramach) w ramach terapii podtrzymującej chorych na CIDP w scenariuszu istniejącym – wyniki podsumowano w załączniku (zob. Załącznik 13.2).

## 4.2 Scenariusz nowy

Zgodnie z założeniami niniejszej analizy scenariusz nowy przedstawia sytuację, w której Minister Zdrowia wyda pozytywną decyzję o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego HyQvia w leczeniu immunomodulacyjnym u chorych na CIDP (prognozowane objęcie refundacją: kwiecień 2025 r.). Wprowadzenie finansowania produktu leczniczego HyQvia we wnioskowanym wskazaniu spowoduje zmiany w udziałach poszczególnych technologii medycznych wynikające z zastąpienia technologii opcjonalnych, aktualnie stosowanych w danym wskazaniu przez terapię wnioskowaną.

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED], co przedstawia Tabela 15.

Tabela 15. [REDACTED]

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

Udziały poszczególnych opakowań produktów leczniczych HyQvia oraz Hizentra w ramach stosowania immunoglobulin w podaniu podskórnym szacowano w oparciu o prognozowane zużycie (w gramach) immunoglobulin w ramach refundowanych wskazań (B.17, B.62, B.67; prognoza na podstawie danych z UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV UR, NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV), średniego zużycia (w gramach) leku Hizentra na 1 leczonego pacjenta w ramach programu B.67 (UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV UR, NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV), a także

w oparciu o oszacowania eksperckie dotyczące odsetka leczonych produktami HyQvia i Hizentra w kolejnych latach przy założeniu objęcia refundacją HyQvia we wnioskowanym wskazaniu – wyniki podsumowano w tabeli poniżej.

Tabela 16. Udziały opakowań leków HyQvia i Hizentra (fSClg i SClg) w scenariuszu nowym.

EAN	Opakowanie	Udział		
		I rok	II rok	III rok
5909991072896	HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml	█	█	█
5909991072902	HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml	█	█	█
5909991072872	HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 25 ml	█	█	█
5909991072926	HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 300 ml	█	█	█
5909991072889	HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 50 ml	█	█	█
<b>HyQvia – łącznie</b>		█	█	█
05909990869572	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 10 ml	█	█	█
05909990869657	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 20 ml	█	█	█
05909990869541	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 5 ml	█	█	█
05909991067380	Hizentra 0,2 g/ml, 1 fiol. × 50 ml	█	█	█
<b>Hizentra – łącznie</b>		█	█	█
<b>Suma udziałów fSClg i SClg</b>		█	█	█

W analizie uwzględniono również możliwość zastępowania immunoglobulin podawanych dożylnie przez fSClg ze względu na fakt, że w obliczu pojawienia się w programie lekowym kolejnego preparatu SClg, nie wykluczone jest, że pacjenci którzy do tej pory z różnych powodów, pomimo dostępu do SClg nadal kontynuowali leczenie IVIg, będą skłonni rozpocząć leczenie z zastosowaniem nowo dostępnego SClg tj. produktu leczniczego HyQvia. █

Uzyskane wyniki zestawiono poniżej.

Tabela 17. █

█	█
█	█
█	█
█	█

Oszacowano, że docelowy poziom zastępowania IVIg przez fSClg wyniesie █. Założono, że niniejszy udział zostanie osiągnięty po trzech latach od rozpoczęcia refundacji lekiem HyQvia, który w latach 1-3

będzie wzrastał liniowo. [REDAKTOWANE]

Uzyskane wartości przedstawia Tabela 18.

Tabela 18. Zastępowanie IVIg przez fSCiG – warianty podstawowy, minimalny i maksymalny.

Wariant	Rok 1	Rok 2	Rok 3
Podstawowy	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Minimalny	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
Maksymalny	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE], w kolejnych latach horyzontu analizy.

Tabela 19. Liczebność wnioskowanej populacji docelowej – scenariusz nowy.

Terapia	I rok	II rok	III rok
<b>Udziały poszczególnych terapii</b>			
SCiG (Hizentra)	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
fSCiG (HyQvia)	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
IVIg	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
<b>Liczba pacjentów z CIDP w podziale na stosowane terapie SCiG lub IVIg</b>			
SCiG (Hizentra)	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
fSCiG (HyQvia)	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
IVIg	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

W scenariuszu nowym prognozowano, że terapię lekiem HyQvia w kolejnych latach otrzyma [REDAKTOWANE] chorych. Zgodnie z przyjętym założeniem, będą to udziały przejęte od terapii Hizentra i IVIg.

Dodatkowo tak jak w scenariuszu istniejącym, w oparciu o dane dotyczące zrefundowanych jednostek rozliczeniowych w ramach programów lekowych, w których finansowane są SCiG oraz fSCiG (tj. B.17, B.62, B.67), udostępniane w corocznych sprawozdaniach Rady NFZ dotyczących działalności Narodowego Funduszu Zdrowia (dane z lat 2020 – 2024: UR NFZ 5/2021/IV, UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV UR, NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV), oszacowano zużycie immunoglobulin (w gramach) w ramach terapii podtrzymującej chorych na CIDP w scenariuszu nowym – wyniki podsumowano w załączniku (zob. Załącznik 13.2).

## 5 Analiza kosztów

W analizie wpływu na budżet uwzględniono następujące rodzaje bezpośrednich kosztów medycznych:

- koszty lekowe terapii (HyQvia, Hizentra, IVIg),
- koszty administracji leczenia,
- koszty diagnostyki i monitorowania leczenia.

Nie uwzględniono przy tym kosztów ponoszonych przez pacjentów, a także kosztów pośrednich, co jest zgodne z przyjętą w analizie perspektywą płatnika publicznego. Koszty z każdej uwzględnionej kategorii zostały obliczone przy założeniu planowego leczenia z udziałem poszczególnych leków.

Uwzględnione w analizie ceny jednostkowe leków obecnie refundowanych pochodzą z najbardziej aktualnych danych NFZ i MZ.

W związku z opublikowaniem przez AOTMiT raportu w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia (AOTMiT WT.543.5.2024) oraz rekomendacji prezesa AOTMiT w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej (AOTMiT 13/06/2024) w analizie uwzględniono ceny punktów rozliczeniowych dla świadczeń opieki zdrowotnej przedstawione w poniższej tabeli. W obliczeniach przyjęto zaproponowane wyceny punktów rozliczeniowych wg Wariantu 3 zatwierdzonego do realizacji przez Ministra Zdrowia.

Tabela 20. Średnie ceny punktu rozliczeniowego dla świadczeń opieki zdrowotnej.

Kategoria świadczeń	Średnia cena punktu
SZP – programy lekowe / chemioterapia (porady, hospitalizacje, ryczałt diagn.)	1,77 zł
SZP – wartości hospitalizacji do grup JGP	1,84 zł
SZP – katalog produktów odrębnych	1,84 zł
SZP – katalog produktów do sumowania	1,84 zł
SZP – katalog radioterapii	1,55 zł
AOS – wizyty ambulatoryjne (W11, W12)	1,77 zł
AOS – ASDK – diagnostyka obrazowa (badania medycyny nuklearnej, tomografia, rezonans)	1,49 zł

Metodykę dla przeprowadzonego oszacowania powyższych kategorii kosztów przedstawiono w kolejnych podrozdziałach.

### 5.1.1 Koszty jednostkowe leków

Założenia dotyczące finansowania leku HyQvia we wskazaniu leczenia podtrzymującego przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej przedstawiono szczegółowo w Rozdziale 2.4. Koszty leku Hizentra oraz immunoglobulin dożylnych oszacowano na podstawie obwieszczenia Ministra Zdrowia na dzień 1 stycznia 2025 r. (MZ 18/12/2024) i przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 21. Ceny opakowań immunoglobulin (MZ 18/12/2024).

Produkt	Cena hurtowa brutto	Limit finansowania	Efektywna cena jednostkowa [zł/g]
<b>SClg</b>			
Hizentra 0,2 g/ml, 10 ml	686,88 zł	686,88 zł	343,44 zł
Hizentra 0,2 g/ml, 20 ml	1 373,76 zł	1 373,76 zł	343,44 zł
Hizentra 0,2 g/ml, 5 ml	343,44 zł	343,44 zł	343,44 zł
Hizentra 0,2 g/ml, 50 ml	3 434,40 zł	3 434,40 zł	343,44 zł
<b>IVIg</b>			
Kiovig 100 mg/ml, 10 ml	343,44 zł	257,58 zł	257,58 zł
Kiovig 100 mg/ml, 100 ml	3 434,40 zł	2 575,80 zł	257,58 zł
Kiovig 100 mg/ml, 200 ml	6 868,80 zł	5 151,60 zł	257,58 zł
Kiovig 100 mg/ml, 25 ml	858,60 zł	643,95 zł	257,58 zł
Kiovig 100 mg/ml, 300 ml	10 303,20 zł	7 727,40 zł	257,58 zł
Kiovig 100 mg/ml, 50 ml	1 717,20 zł	1 287,90 zł	257,58 zł
Flebogamma DIF 50 mg/ml, 100 ml	1 516,86 zł	1 287,90 zł	257,58 zł
Flebogamma DIF 50 mg/ml, 200 ml	3 033,72 zł	2 575,80 zł	257,58 zł
Privigen 100 mg/ml, 400 ml	13 737,60 zł	10 303,20 zł	257,58 zł
Privigen 100 mg/ml, 100 ml	3 434,40 zł	2 575,80 zł	257,58 zł
Privigen 100 mg/ml, 200 ml	6 868,80 zł	5 151,60 zł	257,58 zł
Privigen 100 mg/ml, 25 ml	858,60 zł	643,95 zł	257,58 zł
Privigen 100 mg/ml, 50 ml	1 717,20 zł	1 287,90 zł	257,58 zł
Ig VENA 50 g/l, 100 ml	1 287,90 zł	1 287,90 zł	257,58 zł
Ig VENA 50 g/l, 200 ml	2 575,80 zł	2 575,80 zł	257,58 zł
Ig VENA 50 g/l, 50 ml	643,95 zł	643,95 zł	257,58 zł

Koszty jednostkowe, wraz ze zużyciem substancji czynnych, posłużyły do kalkulacji kosztu porównywalnych interwencji.

### 5.1.2 Zużycie leków

Przed rozpoczęciem leczenia preparatem HyQvia należy obliczyć równoważną dawkę tygodniową, dzieląc planową dawkę przez planowy odstęp między dawkami wyrażony w tygodniach. Typowy zakres odstępu między dawkami produktu HyQvia wynosi od 3 do 4 tygodni. Zalecana dawka podskórna wynosi od 0,3 do 2,4 g/kg masy ciała na miesiąc, podawana w 1 lub 2 sesjach w ciągu 1 lub 2 dni. Podczas dostosowywania dawki należy brać pod uwagę przede wszystkim odpowiedź kliniczną pacjenta. Dawka może wymagać dostosowania w celu osiągnięcia pożądanej odpowiedzi klinicznej. W razie pogorszenia klinicznego dawkę można zwiększyć do maksymalnej zalecanej dawki 2,4 g/kg masy ciała na miesiąc. Jeśli pacjent jest w stabilnym stanie klinicznym, może być konieczne okresowe zmniejszanie dawki w celu określenia, czy pacjent nadal potrzebuje leczenia IG (*ChPL HyQvia 2024*). Uwzględniając średnią masę ciała pacjentów wynoszącą 72,96 kg (zob. *AE HyQvia 2024*) miesięczną dawkę leku HyQvia oszacowano na 21,9-175,1 g (262,7-2 101,2 g na rok).

Zgodnie z obowiązującymi zapisami programu lekowego B.67 „Leczenie immunoglobulinami chorób neurologicznych (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, G25.82, M33.0, M33.1, M33.2)” podawanie immunoglobuliny podskórnej rozpoczyna się 1 tydzień po ostatniej infuzji immunoglobuliny dożylniej. Zalecana dawka obecnie refundowanej standardowej immunoglobuliny podskórnej wynosi 0,2 do 0,4 g/kg masy ciała na tydzień. Początkowa dawka podskórna może być zamieniana w skali 1:1 z poprzednią dawką immunoglobuliny dożylniej (obliczaną jako dawka tygodniowa). W związku z powyższym konserwatywnie założono, że roczna dawka leków Hizentra i HyQvia będzie identyczna z dawkowaniem immunoglobulin podawanych dożylnie w całym horyzoncie analizy.

Dawkowanie immunoglobulin dożylnych oszacowano na podstawie dawkowania dla produktu leczniczego Kiovig. Zgodnie z kartą charakterystyki produktu leczniczego Kiovig (*ChPL Kiovig 2024*) leczenie podtrzymujące realizowane jest dawką 1 g/kg m.c. przez okres 1-2 kolejnych dni co 3 tygodnie. Uwzględniając średnią masę ciała pacjentów wynoszącą 72,96 kg (zob. *AE HyQvia 2024*) oszacowano średnie roczne zużycie immunoglobulin na 1 269,0 g w przeliczeniu na jednego pacjenta.

Rzeczywiste zużycie immunoglobulin może różnić się od zalecanego dawkowania m.in. z powodu dostosowania dawki dla pacjenta w trakcie terapii czy też z powodu przerwania leczenia. W celu dokładnego oszacowania rzeczywistego zużycia immunoglobulin wykorzystano dane z Uchwał Rady NFZ dla lat 2021-2024 o liczbie zrefundowanych miligramów substancji czynnych oraz liczbie leczonych w ramach programu lekowego B.67 (*UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV, UR NFZ 29/2024/IV*).



Jako że dane za 2024 rok obejmowały wyłącznie pierwszy kwartał roku konieczne było przeprowadzenie ekstrapolacji danych dla całego 2024 r. Na podstawie dostępnych danych za lata 2021-2023 obliczono średnią zmianę raportowanych danych na koniec każdego roku kalendarzowego względem danych raportowanych w I półroczu każdego roku. Szczegółowe obliczenia przedstawia kolejna tabela.

Tabela 22. Ekstrapolacja zużycia immunoglobulin w 2024 r.

	I 2021	II 2021	I 2022	II 2022	I 2023	II 2023	I 2024	II 2024
<b>Hizentra</b>								
Liczba zrefundowanych mg Hizentra	1 270 000	8 422 000	3 964 000	14 829 000	21 449 000	52 847 000	22 058 000	90 114 608
Zmiana II kwartał vs I kwartał		663%		374%		246%		409% (średnia)
Liczba pacjentów leczonych Hizentra w B.67	11	11	20	45	65	71	62	90
Zmiana II kwartał vs I kwartał		100%		225%		109%		145% (średnia)
<b>IVIg</b>								
Liczba zrefundowanych mg IVIg w B.17	4 480 000	8 528 500	3 697 000	7 581 000	3 131 000	7 084 500	4 040 000	8 336 329
Zmiana II kwartał vs I kwartał		190%		205%		226%		206% (średnia)
Liczba zrefundowanych mg IVIg w B.62	14 860 170	30 494 040	12 670 510	30 180 200	14 178 513	32 065 000	15 380 000	34 350 338
Zmiana II kwartał vs I kwartał		205%		238%		226%		223% (średnia)
Liczba zrefundowanych mg IVIg w B.67	178 442 225	374 720 450	136 638 750	386 802 835	222 673 500	536 241 420	276 859 435	678 262 708
Zmiana II kwartał vs I kwartał		210%		283%		241%		245% (średnia)
Suma	197 782 395	413 742 990	153 006 260	424 564 035	239 983 013	575 390 920	296 279 435	720 949 375

Obliczone średnie szacowane zużycie immunoglobulin podskórnych przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 23. Liczba zrefundowanych mg Hizentra oraz liczba pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.67 (UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV).

	2021	2022	2023	2024
Liczba zrefundowanych mg Hizentra	8 422 000	14 829 000	52 847 000	90 114 608

	2021	2022	2023	2024
Liczba pacjentów leczonych Hizentra w B.67	11	45	71	90
Liczba gramów w przeliczeniu na jednego pacjenta	765,6	329,5	744,3	1 004,2
<b>Średnia liczba gramów w latach 2021-2024 w przeliczeniu na jednego pacjenta</b>				<b>766,9 g</b>

Na podstawie danych Uchwał Rady Narodowego Funduszu Zdrowia oszacowano średnie roczne zużycie gramów immunoglobulin podskórnych na **766,9 g** w przeliczeniu na jednego pacjenta. W obliczeniach przyjęto niniejszą wartość jako właściwe zużycie immunoglobulin podskórnych w kolejnych latach przyjętego horyzontu czasowego.

W celu ekstrapolacji zużycia immunoglobulin dożylnych w kolejnych latach horyzontu czasowego do danych o ich zużyciu (Tabela 22) dopasowano trend logarytmiczny i liniowy. Wyniki ekstrapolacji danych przedstawia tabela poniżej.

Tabela 24. Ekstrapolacja zużycia immunoglobulin dożylnych.

Trend	2025	2026	2027	2028
Liniowy	754 762 g	838 500 g	922 239 g	1 005 978 g
Logarytmiczny	731 709 g	783 028 g	827 483 g	866 694 g
Średnia	743 235 g	810 764 g	874 861 g	936 336 g

W analizie podstawowej wykorzystano uśrednione zużycie uzyskane w dopasowaniu liniowym i logarytmicznym.

Na podstawie szacowanego zużycia immunoglobulin obliczono koszty lekowe podania immunoglobulin uwzględnionych w analizie.

### 5.1.3 Koszty podania/wydania leków

Świadczenia podania substancji czynnych w programach lekowych mogą być realizowane w trybie ambulatoryjnym lub hospitalizacji, a o wyborze trybu podania leku decyduje lekarz na podstawie stanu chorego biorąc pod uwagę drogę podania leku, czas podania oraz ewentualną konieczność obserwacji pacjenta po podaniu leku pod kątem ewentualnych zdarzeń niepożądanych. Hospitalizacja pacjenta w ramach programu lekowego może być rozliczana jako świadczenie 5.08.07.0000001 „hospitalizacja związana z wykonaniem programu” lub jako świadczenie 5.08.07.0000003 „hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu” w przypadku dorosłych pacjentów z CIDP lub

w przypadku pacjentów poniżej 18 r.ż. świadczenie 5.08.07.0000002 „hospitalizacja związana z wykonaniem programu u dzieci”. Z kolei wizyty ambulatoryjne mogą być realizowane w ramach świadczenia 5.08.07.0000004 „przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu”

Tabela 25. Świadczenia związane z podaniem leków stosowanych w ramach programu lekowego (NFZ 76/2024/DGL).

Kod świadczenia	Nazwa świadczenia	Wartość punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Wycena
5.08.07.0000001	hospitalizacja związana z wykonaniem programu	486,72		861,49 zł
5.08.07.0000002	hospitalizacja związana z wykonaniem programu u dzieci	540,8		957,22 zł
5.08.07.0000003	hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu	486,72	1,77 zł/pkt	861,49zł
5.08.07.0000004	przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu	108,16		191,44 zł

Zgodnie z aktualnymi zapisami programu lekowego B.67 immunoglobulina podskórna wydawana jest do domu przez placówki realizujące program lekowy, przy czym pacjent musi otrzymać minimum dwie pierwsze dawki w warunkach szpitalnych lub ambulatoryjnie w odstępach zgodnych z dawkowaniem leku. Dodatkowo lek może zostać wydany dla celów terapii domowej na okres substytucji nie przekraczającej 3. miesiący (MZ 18/12/2024). W związku z powyższym w analizie podstawowej założono, że podanie oraz wydanie leków odbywa się w warunkach ambulatoryjnych, co wiąże się z rozliczaniem świadczenia 5.08.07.0000004 „przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” w wysokości 191,44 zł. Dodatkowo zgodnie z określonym schematem dawkowania przyjęto podanie pierwszych dwóch dawek immunoglobulin podskórnych w odstępach dwutygodniowych, po czym wizyty pacjentów związane z podaniem leku lub wydaniem go do użytku domowego odbywać się będą w maksymalnie długich odstępach czasowych, tj. co 3 miesiące. Oznacza to, że średnio u jednego pacjenta zrealizowane zostanie 5 świadczeń podania leków w trybie ambulatoryjnym w ciągu jednego roku (pełne wizyty zawierające się w 52-tygodniowym okresie). W ramach analizy wrażliwości testowano alternatywne częstotliwości rocznych wizyt pacjentów oraz rozliczenie podania immunoglobulin podskórnych u części pacjentów w ramach hospitalizacji w trybie jednodniowym.

W analizie podstawowej założono, że u wszystkich pacjentów leczonych immunoglobulinami podawanymi dożylnie konieczna będzie hospitalizacja związana z podaniem leku. Z tego względu koszt podania rozliczono w ramach świadczenia 5.08.07.0000001 „hospitalizacja związana z wykonaniem programu” w wysokości 861,49 zł. Roczną częstość podań IVIg określono na podstawie danych z badania *Bril 2023*, będącego badaniem rejestracyjnym dla wnioskowanej populacji. W niniejszej publikacji w populacji wyjściowej u 3,2% pacjentów stosowano leczenie IVIg co 2 tygodnie, u 8,1% co 3 tygodnie, natomiast u 88,7% pacjentów immunoglobuliny dożylnie podawano co 4 tygodnie. Oznacza to, że średnia roczna częstość podań IVIg wynosi **13,5** podania na rok.

Zgodnie z aktualnie obowiązującymi zapisami programu lekowego B.67 podanie dawki IVIg odbywa się w ciągu 2-5 dni, dlatego w analizie podstawowej przyjęto średnią długość podania leku równą 3 dni, natomiast wartości skrajne testowano w ramach analizy wrażliwości. Ponad to należy zaznaczyć, że zgodnie z §23 ust. 7 do *NFZ 175/2023/DGL* w przypadku świadczeń wykonywanych w trybie hospitalizacji dzień przyjęcia do leczenia oraz jego zakończenia wykazywany jest do rozliczenia jako jeden osobodzień.

W analizie dodatkowo wprowadzono korektę średniej długości leczenia pacjentów z CIDP w programie lekowym B.67, w związku z wykazaniem mniejszego rzeczywistego zużycia substancji czynnych niż w przypadku planowanego dawkowania (zob. Rozdział 5.1.2). Do obliczeń wykorzystano dane z Uchwał Rady NFZ za II półrocze 2022 roku *UR NFZ 8/2023/IV* oraz dane statystyczne Narodowego Funduszu Zdrowia o liczbie pacjentów otrzymujących terapię SCIg w ramach programu B.67. Na podstawie powyższych źródeł określono, że w 2022 roku 45 pacjentów otrzymało co najmniej jedno podanie immunoglobulin podskórnych. Jednocześnie średniomiesięczna liczba chorych otrzymujących aktywne leczenie wynosiła 23 pacjentów. W związku z powyższym obliczono współczynnik korygujący równy **0,52** ( $23 / 45 = 0,52$ ). Korektę zastosowano do kosztów podania leków oraz diagnostyki i monitorowania.

#### 5.1.4 Koszty diagnostyki i monitorowania

Obecnie diagnostyka i monitorowanie pacjentów w programie lekowym B.67 realizowane jest na podstawie świadczenia 5.08.08.0000075 „Diagnostyka w programie leczenia immunoglobulinami chorób neurologicznych” rozliczanego w formie ryczałtu rocznego. Jako że wnioskowana interwencja, w przypadku wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej, będzie stosowana w ramach tego samego programu lekowego, w oszacowaniu kosztów terapii lekiem HyQvia przyjęto analogiczny koszt ryczałtowy. Szczegółowe oszacowanie kosztu diagnostyki i monitorowania przedstawia Tabela 26.

Tabela 26. Wycena rocznego ryczałtu za diagnostykę w programie leczenia CIDP (NFZ 76/2024/DGL)

Kod świadczenia	Nazwa świadczenia	Wartość punktowa	Wycena punktu rozliczeniowego [zł/pkt]	Wycena
5.08.08.0000075	Diagnostyka w programie leczenia immunoglobulinami chorób neurologicznych	1 406,08	1,77 zł	2 488,76 zł

Zgodnie z aktualnymi zasadami rozliczania świadczeń diagnostyki w programach lekowych przyjęto, że ryczałt roczny podczas leczenia CIDP jest rozliczany proporcjonalnie do ilości miesięcy leczenia pacjentów w programie, co wynika z faktu, że leczenie w programie nie jest z góry limitowane i może przekraczać okres 1 roku. W przeliczeniu na tydzień koszt ten wynosi 47,70 zł na leczonego pacjenta. Omawiane założenia są wspólne dla wszystkich schematów leczenia porównywanych w modelu.

### 5.1.5 Koszty zdarzeń niepożądanych

W przeprowadzonej analizie wpływu na budżet odstąpiono od oszacowania kosztów leczenia zdarzeń niepożądanych. Powyższe założenie oparto o wyniki przeprowadzonej analizy klinicznej (AKL HyQvia 2024), w której wykonano porównanie pośrednie dla preparatu HyQvia oraz komparatorów. Na podstawie uzyskanych wyników stwierdzono brak istotnych statystycznie różnic w ryzyku wystąpienia jakiegokolwiek ciężkich zdarzeń niepożądanych.

## 6 Podsumowanie danych wejściowych modelu (wariant podstawowy)

W poniższej tabeli przedstawiono zestawienie parametrów (danych wejściowych) wykorzystanych w analizie wpływu na budżet modelu ekonomicznego.

Tabela 27. Dane wejściowe przyjęte w wariantcie podstawowym.

Parametr	Wartość	Źródło/uzasadnienie
<b>Parametry dotyczące liczebności populacji i struktury rynkowej</b>		
Liczba pacjentów z CIDP w populacji docelowej	[redacted]	[redacted]
Udziały rynkowe technologii opcjonalnych w przypadku refundacji preparatu HyQvia – scenariusz nowy	[redacted]	[redacted]

Parametr	Wartość	Źródło/uzasadnienie
<b>Parametry kosztowe</b>		
Koszty jednostkowe terapii preparatem HyQvia		
Koszty jednostkowe terapii preparatem Hizentra	297,65 zł/g	MZ 18/12/2024
Koszty jednostkowe terapii IVIg	257,58 zł/g	MZ 18/12/2024
Koszty podania/wydania leków fSCiG i SCiG	191,44 zł	NFZ 109/2024/DGL
Koszty podania/wydania leków IVIg	861,49 zł	NFZ 109/2024/DGL
Koszty diagnostyki i monitorowania	2 488,76 zł/rok	NFZ 109/2024/DGL
<b>Metodyka</b>		
Perspektywa analizy	Perspektywa płatnika publicznego	AOTMiT 2016
Horyzont czasowy	3 lata	AOTMiT 2016

Wyniki analizy podstawowej przedstawiono w Rozdziale 9.1.

## 7 Założenia wariantów analizy wrażliwości

W poniższej tabeli zestawiono założenia wariantów analizy wrażliwości. Wybrane parametry badano w celu potwierdzenia ich przewidywanego istotnego wpływu na wyniki analizy wpływu na budżet.

Nr wariantu	Wariant analizy	Wartość/założenie	Źródło/uzasadnienie
1	Obniżenie ceny HyQvia o 5%		testowanie wpływu obniżenia ceny preparatu HyQvia, zgodnie z AOTMiT 2016
2	Obniżenie ceny HyQvia o 10%		
3	Wzrost wyceny punktów rozliczeniowych	zwiększenie wyceny punktów rozliczeniowych o 10%	w latach 2022-2023 podwyższono rok do roku wyceny punktów rozliczeniowych dla poszczególnych świadczeń (AOTMiT 65/2022, AOTMiT 07/2022, AOTMiT WT.543.7.2023 i AOTMiT 05/06/2023), w związku z czym założono możliwość kolejnego wzrostu wyceny punktów rozliczeniowych
4	Podanie/wydanie leków u części pacjentów w ramach hospitalizacji	wizyta ambulatoryjna: 50% hospitalizacja: 50%	u części pacjentów istnieje możliwość podania immunoglobulin podskórnych w ramach hospitalizacji

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCiG)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

Nr wariantu	Wariant analizy	Wartość/założenie	Źródło/uzasadnienie
5		765,64 g/rok	UR NFZ 3/2022/IV
6	Alternatywne dawkowanie immunoglobulin	329,53 g/rok	UR NFZ 8/2023/IV
7		744,32 g/rok	UR NFZ 5/2024/IV
8	Podanie/wydanie immunoglobulin podskórnych co 2 miesiące	co 2 miesiące	zgodnie z aktualnymi zapisami programu lekowego B.67 immunoglobulina podskórna może być wydana dla celów terapii domowej na okres substytucji nie przekraczający 3 miesiące, w związku z czym wizyty mogą odbywać się z większą częstotliwością w roku
9			
10			
11			
12			
13	Nieuwzględnienie korekty czasu trwania terapii	Brak korekty czasu trwania terapii	założenie własne
14	Alternatywna data rozpoczęcia refundacji produktu leczniczego HyQvia	od 1 lipca 2025 r.	założenie własne
15	Niezastępowanie IVIg przez fSClg	Przejmowanie wyłącznie udziałów od SClg	Obecnie w ramach programu B.67 refundowane jest leczenie immunoglobuliną podskórną (Hizentra), która wyznacza zapotrzebowanie na leczenie z wykorzystaniem immunoglobulin podskórnych

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w Rozdziale 9.4.

## 8 Oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń

W związku z brakiem refundacji ze środków publicznych wnioskowanej interwencji, aktualne wydatki płatnika publicznego na refundację produktu leczniczego HyQvia we wnioskowanym wskazaniu wynoszą 0 zł.

Na podstawie dostępnych danych raportowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia nie jest możliwe jednoznaczne określenie kosztów ponoszonych przez płatnika na refundację immunoglobulin refundowanych w rozpatrywanym wskazaniu. Spowodowane jest to sposobem raportowania kwoty refundacji leków przez Departament Gospodarki Lekami, w raportach którego podawana jest pełna kwota refundacji dla danej reprezentacji leku łącznie dla wszystkich programów lekowych, w ramach których dany lek jest refundowany. Niniejsza sytuacja dotyczy m.in. produktu leczniczego Hizentra, który jest refundowany w ramach programów lekowych B.17., B.62. i B.67. Dodatkowo, w ramach programu B.67. refundacją objęta jest terapia więcej, niż jednego rozpoznania, np. przewlekła zapalna polineuropatia demielinizacyjna (CIDP), ale również wieloogniskowa neuropatia ruchowa (MMN), czy miastenia (MG), i inne.

Z tego względu oszacowania aktualnych rocznych wydatków ponoszonych przez płatnika na leczenie pacjentów wchodzących w skład populacji docelowej dokonano na podstawie oszacowania populacji oraz metodyki modelu ekonomicznego (w tym analizy przeżycia i kosztów) analogicznej do przedstawionej w ramach scenariusza istniejącego, po przyjęciu prognozowanej liczebności populacji docelowej, wynoszącej 910 pacjentów. Oszacowanie uwzględnia pacjentów otrzymujących leczenie podtrzymujące z powodu CIDP, którzy spełniają kryteria programowe. W związku z tym nie uwzględniono pacjentów leczonych we wcześniejszych latach i kontynuujących leczenie w 2024 r.

Tabela 28. Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczenia (oszacowanie na 2024 r.)

Kategoria wydatków	Wydatki w 2024 r.
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████
HyQvia	██
Hizentra	██████████
Koszty nielekowe	██████████
IVIg	██████████

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)



Całkowite wydatki ponoszone przez płatnika na leczenie pacjentów wchodzących w skład populacji docelowej w 2024 roku oszacowano na kwotę ██████████

## 9 Wyniki analizy wpływu na budżet

W kolejnych podrozdziałach przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet, z wyodrębnieniem wydatków na produkt HyQvia w wariantcie z uwzględnieniem oraz przy braku proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

### 9.1 Wariant podstawowy

#### 9.1.1 Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

Poniższa tabela przedstawia wydatki płatnika publicznego w przyjętym horyzoncie czasowym (kwiecień 2025-marzec 2028) analizy wpływu na budżet.

Tabela 29. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, z RSS.

Kategoria	Scenariusz nowy	Scenariusz aktualny	Wydatki inkrementalne	Zmiana [%]
<b>Rok 1</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████	████
HyQvia	██████████	████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVIg	██████████	██████████	██████████	██████
<b>Rok 2</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████████	██████
HyQvia	██████████	████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVIg	██████████	██████████	██████████	██████
<b>Rok 3</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████████	██████
HyQvia	██████████	████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVIg	██████████	██████████	██████████	██████

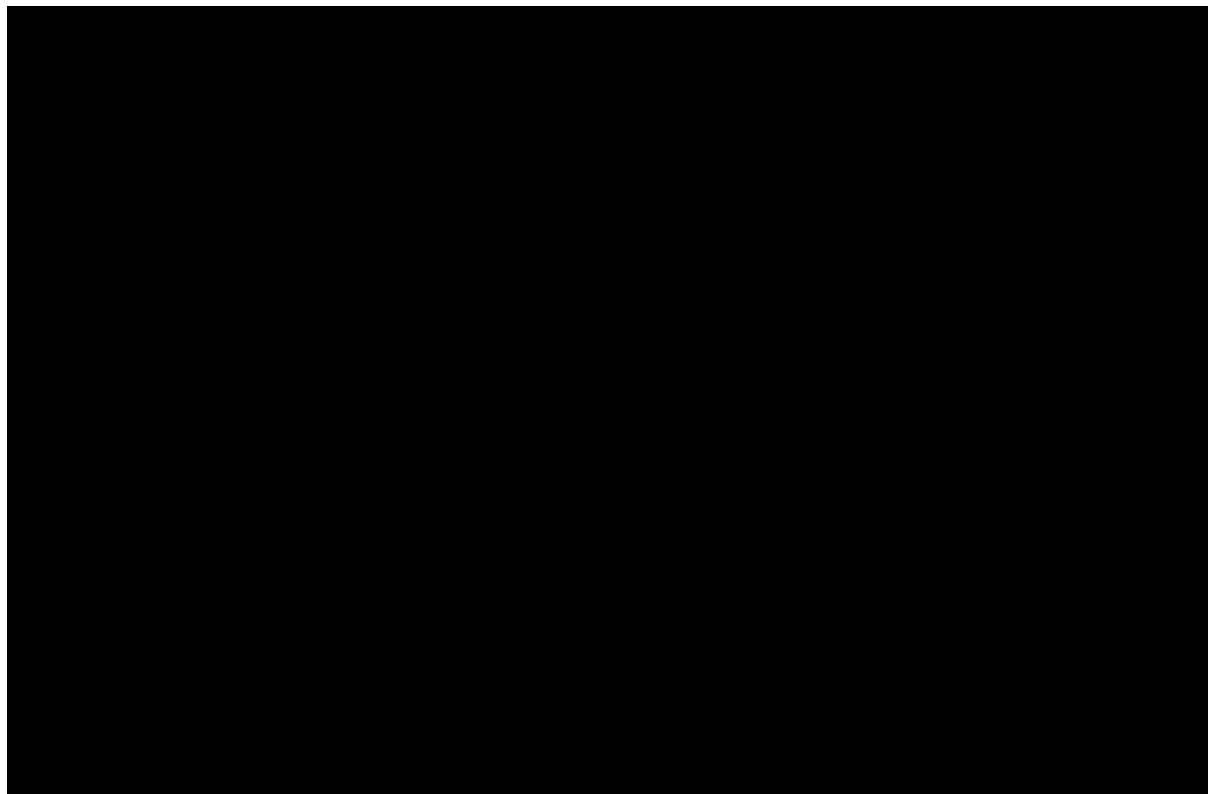
HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

Wydanie pozytywnej decyzji o objęciu refundacją produktu leczniczego HyQvia w ramach wnioskowanego programu lekowego będzie wiązało się [REDAKTOWANO]

Wyniki analizy przedstawiono na poniższym wykresie.

Wykres 2. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, z RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [REDAKTOWANO] w pierwszych trzech latach refundacji.

### 9.1.2 Bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Poniższa tabela przedstawia wydatki płatnika publicznego w przyjętym horyzoncie czasowym (kwiecień 2025-marzec 2028) analizy wpływu na budżet.

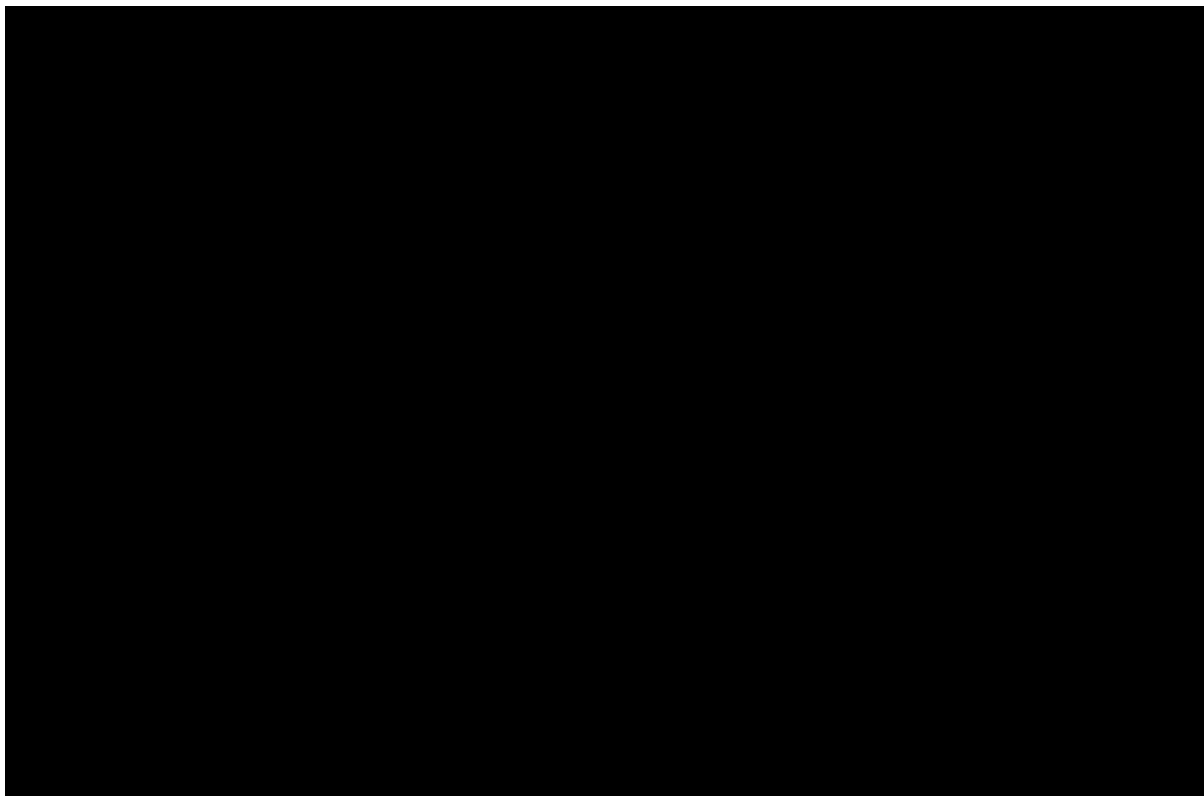
Tabela 30. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, bez RSS.

Kategoria	Scenariusz nowy	Scenariusz aktualny	Wydatki inkrementalne	Zmiana [%]
<b>Rok 1</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████████	██████
HyQvia	██████████	██████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVlg	██████████	██████████	██████████	██████
<b>Rok 2</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████████	██████
HyQvia	██████████	██████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVlg	██████████	██████████	██████████	██████
<b>Rok 3</b>				
<b>Wydatki całkowite</b>	██████████	██████████	██████████	██████
HyQvia	██████████	██████	██████████	█
Hizentra	██████████	██████████	██████████	██████
Koszty nielekowe	██████████	██████████	██████████	██████
IVlg	██████████	██████████	██████████	██████

Wydanie pozytywnej decyzji o objęciu refundacją produktu leczniczego HyQvia w ramach wnioskowanego programu lekowego będzie wiązało się ze ██████████ kosztów leczenia pacjentów z CIDP ██████████

Wyniki analizy przedstawiono na poniższym wykresie.

Wykres 3. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, bez RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [REDACTED] w pierwszych trzech latach refundacji.

W następnym tabeli przedstawiono prognozowane zużycie opakowań poszczególnych prezentacji leku HyQvia w wariantcie podstawowym.

Tabela 31. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant podstawowy.

Opakowanie	Udział		
	I rok	II rok	III rok
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 25 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 300 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 50 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

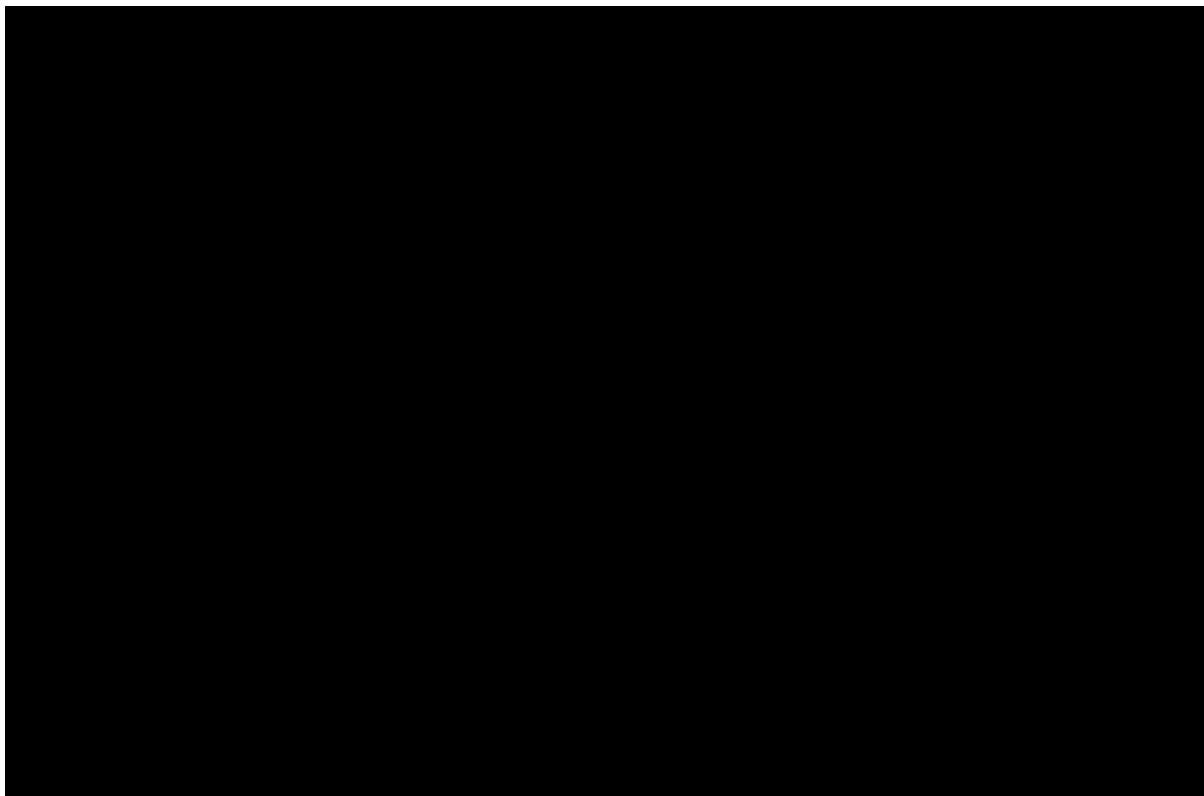
W pierwszych trzech latach refundacji w wariantcie podstawowym prognozowane jest zużycie [REDACTED] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml, [REDACTED] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml,

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)



Wykres 4. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, z RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [czarna klatka] w pierwszych trzech latach refundacji.

### 9.2.1 Bez uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

Poniższa tabela przedstawia wydatki płatnika publicznego w przyjętym trzyletnim horyzoncie czasowym analizy wpływu na budżet, w wariantcie minimalnym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 33. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, bez RSS.

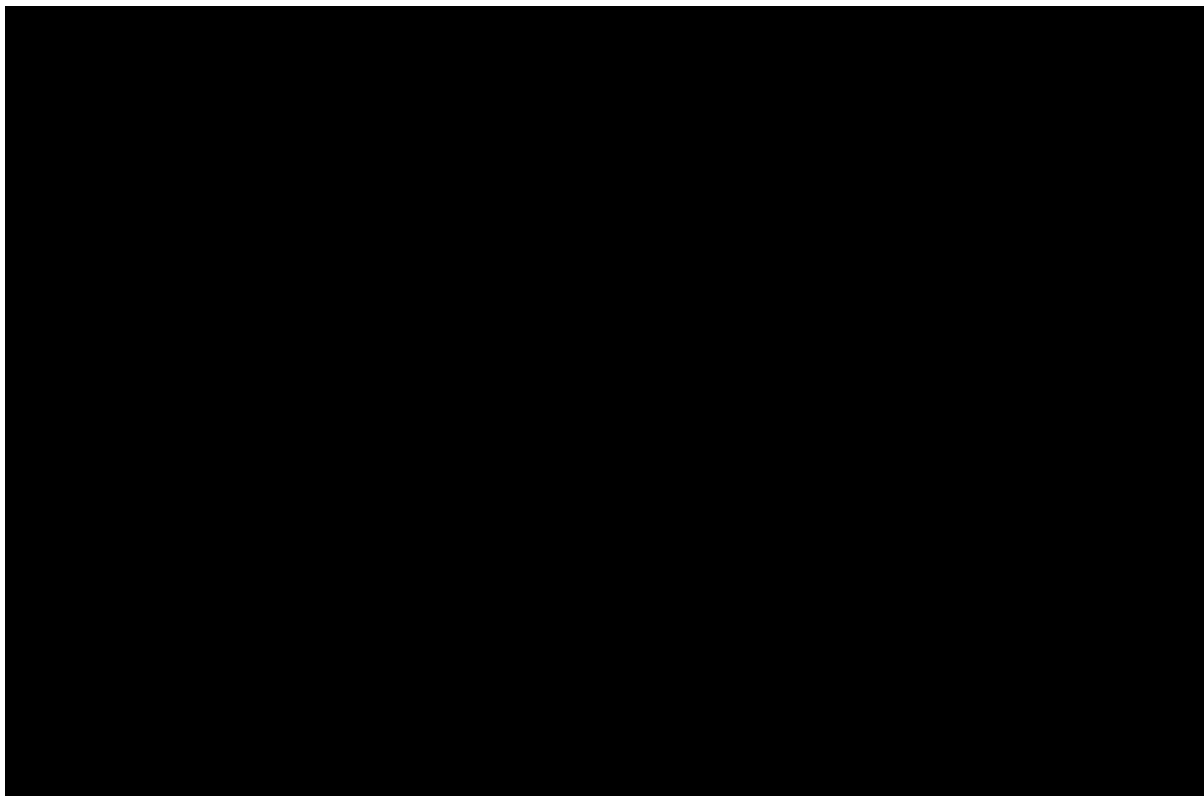
Kategoria	Scenariusz nowy	Scenariusz aktualny	Wydatki inkrementalne	Zmiana [%]
<b>Rok 1</b>				
Wydatki całkowite	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
HyQvia	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
Hizentra	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
Koszty nielekowe	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
IVlg	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)



Wykres 5. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, bez RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [REDACTED] w pierwszych trzech latach refundacji.

W następnym tabeli przedstawiono prognozowane zużycie opakowań poszczególnych prezentacji leku HyQvia.

Tabela 34. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant minimalny.

Opakowanie	Udział		
	I rok	II rok	III rok
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 25 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 300 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 50 ml	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

W pierwszych trzech latach refundacji w wariantcie minimalnym prognozowane jest zużycie [REDACTED] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml, [REDACTED] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml,

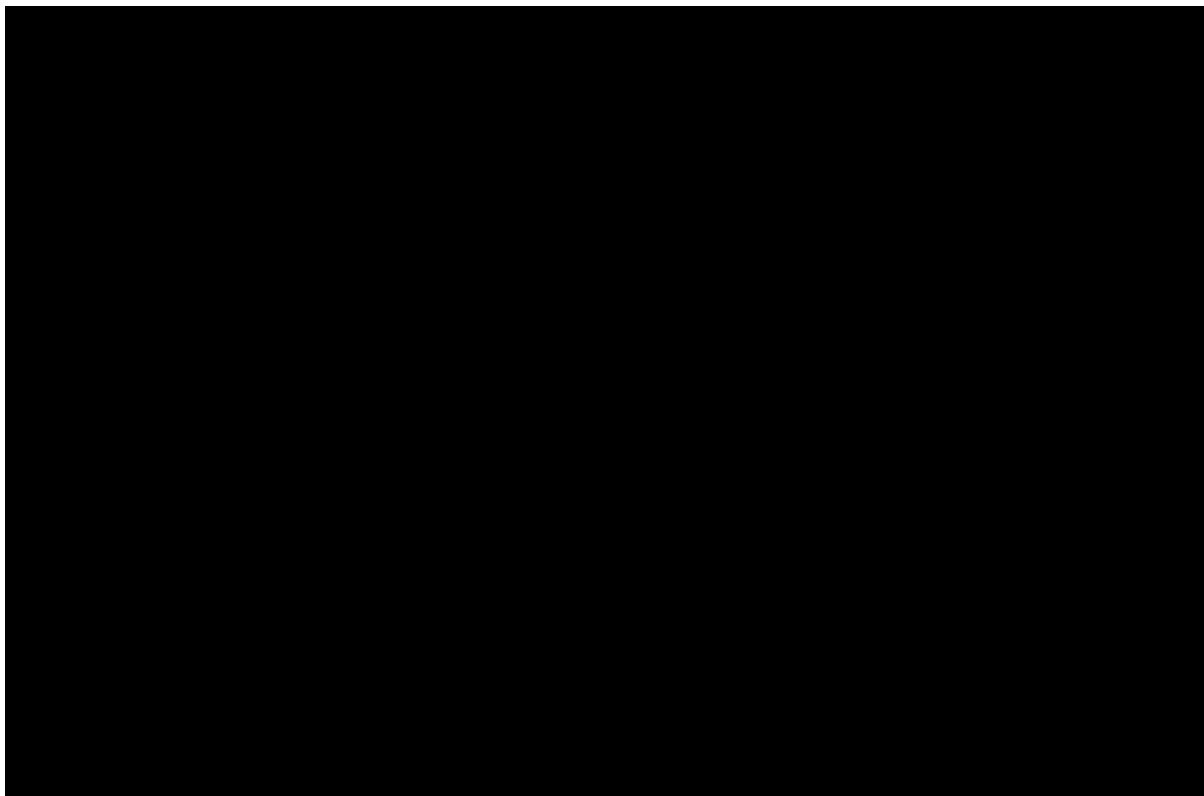
HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)





Wykres 6. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, z RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [czarna klatka] w pierwszych trzech latach refundacji.

### 9.3.2 Bez uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

Poniższa tabela przedstawia wydatki płatnika publicznego w przyjętym trzyletnim horyzoncie czasowym analizy wpływu na budżet, w wariantcie maksymalnym, bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Tabela 36. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, bez RSS.

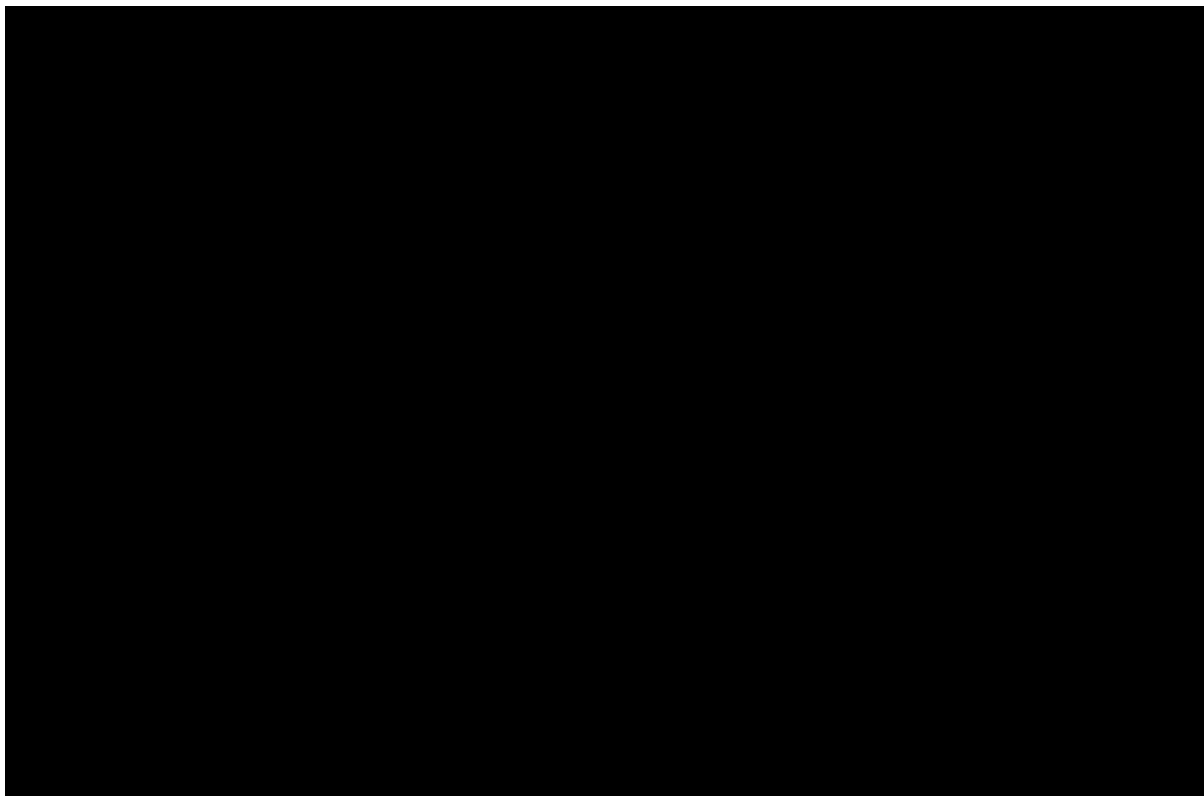
Kategoria	Scenariusz nowy	Scenariusz aktualny	Wydatki inkrementalne	Zmiana [%]
<b>Rok 1</b>				
Wydatki całkowite	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
HyQvia	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
Hizentra	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
Koszty nielekowe	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]
IVlg	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]	[czarna klatka]

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)



Wykres 7. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, bez RSS.



Główną składową kosztów związanych z leczeniem pacjentów z CIDP stanowią koszty lekowe. Prognozowana wartość refundacji preparatu HyQvia po wprowadzeniu wnioskowanego programu lekowego wynosi kolejno [REDAKTOWANE] w pierwszych trzech latach refundacji.

W następnym tabeli przedstawiono prognozowane zużycie opakowań poszczególnych prezentacji leku HyQvia.

Tabela 37. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant maksymalny.

Opakowanie	Udział		
	I rok	II rok	III rok
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 25 ml	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 300 ml	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 50 ml	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

W pierwszych trzech latach refundacji w wariantcie minimalnym prognozowane jest zużycie [REDAKTOWANE] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 100 ml, [REDAKTOWANE] opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 200 ml,

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSCIg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

■■■■ opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 25 ml, ■■■■ opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 300 ml oraz ■■■■ opakowań HyQvia 100 mg/ml, 1 fiol. × 50 ml.

## 9.4 Analiza wrażliwości

### 9.4.1 Z uwzględnieniem instrumentu dzielenia ryzyka

W niniejszym podrozdziale przedstawiono wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości. W ramach analizy testowano 14 wariantów o największym wpływie na wyniki analizy. Tabela 38 prezentuje wyniki wykonanych obliczeń.

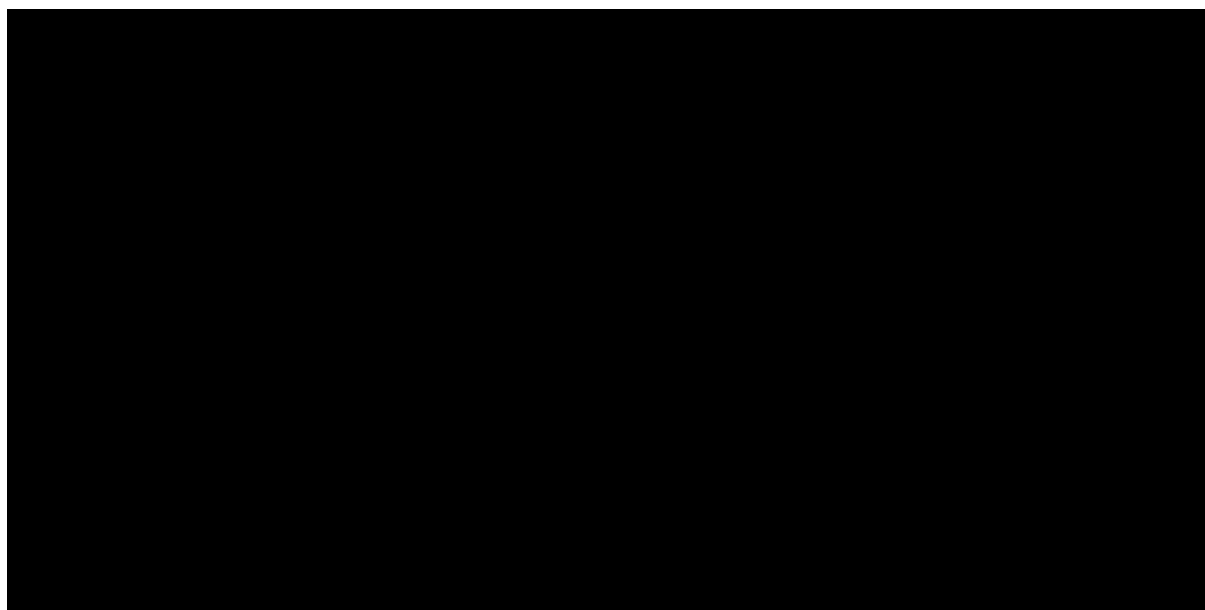
Tabela 38. Wyniki analizy wrażliwości – z uwzględnieniem RSS.

Scenariusz	Rok 1	Rok 2	Rok 3
<b>Wydatki inkrementalne</b>			
Analiza podstawowa	■■■■	■■■■	■■■■
AW 1	■■■■	■■■■	■■■■
AW 2	■■■■	■■■■	■■■■
AW 3	■■■■	■■■■	■■■■
AW 4	■■■■	■■■■	■■■■
AW 5	■■■■	■■■■	■■■■
AW 6	■■■■	■■■■	■■■■
AW 7	■■■■	■■■■	■■■■
AW 8	■■■■	■■■■	■■■■
AW 9	■■■■	■■■■	■■■■
AW 10	■■■■	■■■■	■■■■
AW 11	■■■■	■■■■	■■■■
AW 12	■■■■	■■■■	■■■■
AW 13	■■■■	■■■■	■■■■
AW 14	■■■■	■■■■	■■■■
AW 15	■■■■	■■■■	■■■■
<b>Wydatki na lek HyQvia</b>			
Analiza podstawowa	■■■■	■■■■	■■■■
AW 1	■■■■	■■■■	■■■■
AW 2	■■■■	■■■■	■■■■
AW 3	■■■■	■■■■	■■■■
AW 4	■■■■	■■■■	■■■■

Scenariusz	Rok 1	Rok 2	Rok 3
AW 5	████████	████████	████████
AW 6	████████	████████	████████
AW 7	████████	████████	████████
AW 8	████████	████████	████████
AW 9	████████	████████	████████
AW 10	████████	████████	████████
AW 11	████████	████████	████████
AW 12	████████	████████	████████
AW 13	████████	████████	████████
AW 14	████████	████████	████████
AW 15	████████	████████	████████

Na kolejnym wykresie przedstawiono wydatki płatnika ponoszone na leczenie podtrzymujące CIDP z wykorzystaniem immunoglobulin podskórnych łącznie w trzyletnim horyzoncie czasowym.

Wykres 8. Wydatki płatnika na leczenie podtrzymujące CIDP– scenariusz nowy, horyzont 3-letni, wynik skumulowany, z uwzględnieniem RSS.



Największe zmiany całkowitych wydatków płatnika na leczenie CIDP w przyjętym horyzoncie czasowym w scenariuszu nowym zaobserwowano w wariancie zakładającym brak zastępowania IVIg przez produkt leczniczy HyQvia oraz przy przyjęciu dawki leku na podstawie średniego dawkowania leku w 2022 r., gdzie całkowity koszt terapii uległ obniżeniu o 57,0% względem wyniku analizy podstawowej.

### 9.4.1 Bez uwzględnienia instrumentu dzielenia ryzyka

W niniejszym podrozdziale przedstawiono wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości. W ramach analizy testowano 14 wariantów o największym wpływie na wyniki analizy. Tabela 38 prezentuje wyniki wykonanych obliczeń.

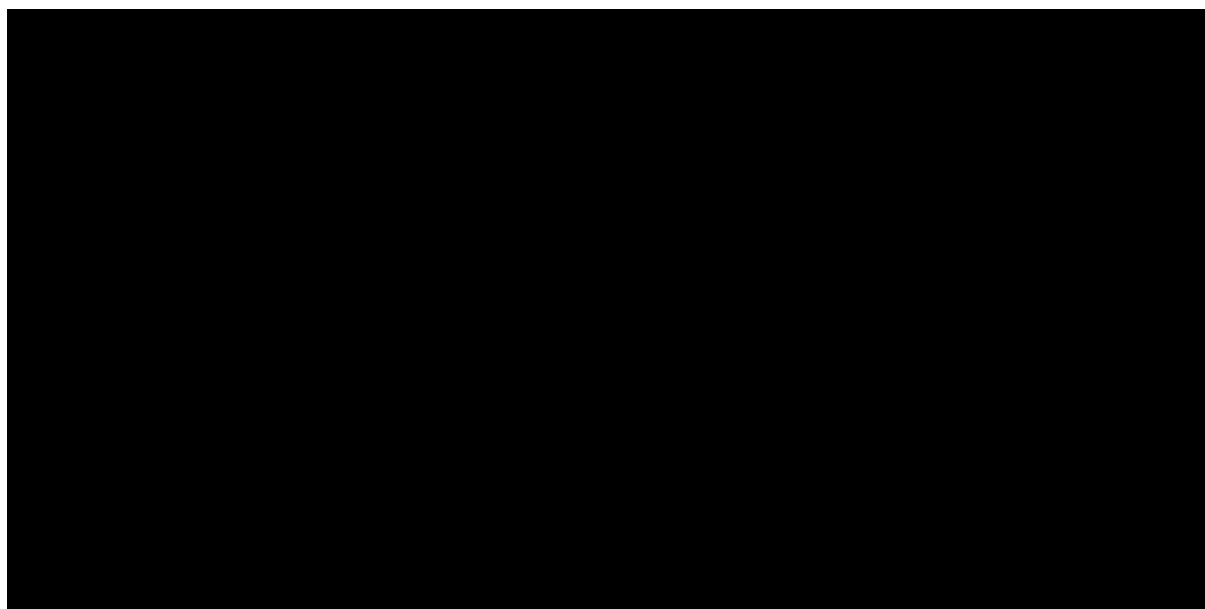
Tabela 39. Wyniki analizy wrażliwości – bez uwzględnienia RSS.

Scenariusz	Rok 1	Rok 2	Rok 3
<b>Wydatki inkrementalne</b>			
Analiza podstawowa	████████	████████	████████
AW 1	████████	████████	████████
AW 2	████████	████████	██████
AW 3	████████	████████	████████
AW 4	████████	████████	████████
AW 5	████████	████████	████████
AW 6	████████	████████	████████
AW 7	████████	████████	████████
AW 8	████████	████████	████████
AW 9	████████	████████	████████
AW 10	████████	████████	████████
AW 11	████████	████████	████████
AW 12	████████	████████	████████
AW 13	████████	████████	████████
AW 14	████████	████████	████████
AW 15	██	██	██
<b>Wydatki na lek HyQvia</b>			
Analiza podstawowa	████████	████████	████████
AW 1	████████	████████	████████
AW 2	████████	████████	████████
AW 3	████████	████████	████████
AW 4	████████	████████	████████
AW 5	████████	████████	████████
AW 6	████████	████████	████████
AW 7	████████	████████	████████
AW 8	████████	████████	████████
AW 9	████████	████████	████████

Scenariusz	Rok 1	Rok 2	Rok 3
AW 10	████████	████████	████████
AW 11	████████	████████	████████
AW 12	████████	████████	████████
AW 13	████████	████████	████████
AW 14	████████	████████	████████
AW 15	████████	████████	████████

Na kolejnym wykresie przedstawiono wydatki płatnika ponoszone na leczenie podtrzymujące CIDP z wykorzystaniem immunoglobulin podskórnych łącznie w trzyletnim horyzoncie czasowym.

Wykres 9. Wydatki płatnika na leczenie podtrzymujące CIDP – scenariusz nowy, horyzont 3-letni, wynik skumulowany, bez uwzględnienia RSS.



Największe zmiany całkowitych wydatków płatnika na leczenie CIDP w przyjętym horyzoncie czasowym w scenariuszu nowym zaobserwowano w wariancie zakładającym brak zastępowania IVIg przez produkt leczniczy HyQvia oraz przy przyjęciu dawki leku na podstawie średniego dawkowania leku w 2022 r., gdzie całkowity koszt terapii uległ obniżeniu o 57,0% względem wyniku analizy podstawowej.

## 10 Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Finansowanie produktu leczniczego HyQvia ze środków publicznych nie wymaga dodatkowych nakładów, związanych np. z potrzebą przeszkolenia personelu, pacjentów lub ich opiekunów, opracowaniem



nowych wytycznych klinicznych, zmiany zasad diagnostyki, itd. Decyzja dotycząca finansowania produktu leczniczego HyQvia ze środków publicznych nie oddziałuje w jakikolwiek sposób na prawa pacjenta czy też prawa człowieka, nie wiąże się również ze szczególnymi wymogami w stosunku do pacjenta. Podsumowując wpływ na aspekty społeczne i etyczne, a także organizacyjne i prawne, nie zidentyfikowano żadnych potencjalnych problemów związanych z finansowaniem ze środków publicznych rozważanej technologii (Tabela 40).

Tabela 40. Aspekty społeczne i etyczne związane z decyzją o podwyższeniu ceny produktu HyQvia.

Kryterium	Ocena
czy pewne grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Nie
czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach	Nie
czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna	duża korzyść dla szerokiej grupy osób z CIDP
czy technologia stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych	Nie
czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	Nie
czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne	Nie
czy decyzja dotycząca rozważanej technologii nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy decyzja dotycząca rozważanej technologii stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
czy decyzja dotycząca rozważanej technologii oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Nie
czy stosowanie technologii nakłada konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
czy stosowanie technologii nakłada potrzebę zapewnienia pacjentowi poufności postępowania;	Nie
czy stosowanie technologii nakłada potrzebę uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania	Nie

## 11 Dyskusja i ograniczenia

Celem analizy była prognoza wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w przypadku podjęcia przez Ministra Zdrowia decyzji o refundacji produktu HyQvia (immunoglobulina ludzka normalna oraz rekombinowana hialuronidaza ludzka, fSCIg) w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP).

Na podstawie obecnie obowiązujących zapisów programu lekowego B.67 (MZ 18/12/2024) jako właściwe komparatory dla produktu leczniczego HyQvia we wnioskowanym wskazaniu uznano terapię z zastosowaniem preparatu Hizentra, będącego immunoglobuliną ludzką normalną podawaną podskórnie (SCIg) oraz immunoglobulinami podawanymi dożylnie (IVIg). Analizę wpływu na budżet płatnika publicznego przeprowadzono w horyzoncie trzyletnim.

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują, że wprowadzenie wnioskowanej technologii w horyzoncie trzyletnim będzie wiązało się z [REDAKTOWANE] w wydatkach płatnika związanych z leczeniem podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej, przy uwzględnieniu proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.

Oszacowanie populacji docelowej mogącej otrzymać leczenie preparatem HyQvia oparto o dane ze sprawozdań kwartalnych Narodowego Funduszu Zdrowia o łącznej liczbie pacjentów leczonych immunoglobulinami w ramach programu lekowego B.67. Liczbę pacjentów z CIDP leczonych w ramach programu lekowego, u których nastąpiła stabilizacja w trakcie terapii immunoglobulinami stosowanymi podskórnie obliczono w oparciu o analizę weryfikacyjną dla leku Hizentra oraz dane literaturowe (*AWA Hizentra 2020, van Schaik 2018*), natomiast rzeczywistą liczbę pacjentów otrzymujących leczenie immunoglobulinami podskórnymi określono w oparciu o sprawozdania kwartalne NFZ za lata 2021-2024. Na podstawie obliczeń określono, że w pierwszych trzech latach od wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku HyQvia we wnioskowanym wskazaniu do terapii leczonych będzie kolejno [REDAKTOWANE] pacjentów.

Oszacowanie kosztów ponoszonych przez płatnika oraz ilość zużywanych w trakcie leczenia zasobów (leków, świadczeń opieki zdrowotnej) oparto na analizie kosztów wykonanej w ramach przeprowadzonej równoległe analizy ekonomicznej (*AE HyQvia 2024*), co zapewnia spójność pomiędzy obliczeniami przeprowadzonymi w analizie wpływu na budżet oraz w analizie ekonomicznej.

Najistotniejsze ograniczenia przeprowadzonej analizy przedstawiono w kolejnych podpunktach.

### Rzeczywiste dawkowanie immunoglobulin podskórnych

Średnie roczne zużycie gramów immunoglobulin podawanych podskórnie oszacowano w oparciu o dane przedstawione w sprawozdaniach za II półrocze Narodowego Funduszu Zdrowia w latach 2021-2023 oraz za I półrocze 2024 r. W 2021 r. oraz 2023 r. liczba gramów w przeliczeniu na jednego pacjenta wynosiła kolejno 765,6 g oraz 744,3 g. W 2022 r. średnia dawka wynosiła 329,5 g/rok w przeliczeniu na jednego pacjenta. Znaczne obniżenie zużycia może wynikać z ograniczonej dostępności preparatu

Hizentra w 2022 r. Dodatkowo zużycie na koniec 2024 r. ekstrapolowano w oparciu o dane z lat 2021-2023. Z tego względu do obliczeń w wariantcie podstawowym wykorzystano średnią z prezentowanych wartości (766,9 g), co pozwala na ujęcie wystąpienia ewentualnych wahań zużycia z takich przyczyn jak dostosowywanie dawki do pacjenta czy też związanych z dostępnością leku. Dodatkowo w ramach analizy wrażliwości testowano trzy scenariusze sprawdzające wpływ zmiany rocznego zużycia immunoglobulin podskórnych na wyniki analizy wpływu na budżet.

### Koszty przyjęte w analizie wpływu na budżet płatnika publicznego

Koszty ponoszone w ramach analizy wpływu na budżet płatnika publicznego zostały bezpośrednio powiązane z równoległe przeprowadzoną analizą ekonomiczną dla produktu leczniczego HyQvia we wnioskowanym wskazaniu. W związku z tym wszelkie ograniczenia modelu ekonomicznego stanowią jednocześnie ograniczenia analizy wpływu na budżet płatnika publicznego. Jednakże analiza ekonomiczna została przeprowadzona w sposób rzetelny, z uwzględnieniem kosztów lekowych, kosztów świadczeń związanych z leczeniem, w tym podania i diagnostyki, dzięki czemu koszty obliczone w analizie wpływu na budżet zawierają wszelkie koszty związane z leczeniem pacjentów z CIDP w polskim systemie zdrowia

## 12 Wnioski końcowe

Zastosowanie preparatu HyQvia w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej jest skuteczną i bezpieczną opcją terapeutyczną. Objęcie refundacją leku HyQvia zgodnie z proponowanymi warunkami finansowania terapii będzie przyczyniało się do wygenerowania [REDAKTOWANE] z perspektywy płatnika. Wyniki analizy obarczone są pewną niepewnością, co wynika przede wszystkim z ograniczeń związanych z oszacowaniem populacji docelowej i oszacowaniem dawkowania immunoglobulin w leczeniu podtrzymującym CIDP, jednakże obliczenia oparto o rzeczywiste dane polskiego systemu zdrowia, karty charakterystyk produktów oraz o wyniki badania ankietowego przeprowadzonego wśród polskich ekspertów klinicznych.

Nie zidentyfikowano problemów natury etycznej i społecznej związanych z finansowaniem ze środków publicznych rozważanej technologii. Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego HyQvia we wnioskowanym wskazaniu nie będzie nakładało dodatkowych wymogów związanych z organizacją udzielenia świadczeń zdrowotnych, jak również nie będzie wymagać dodatkowych nakładów związanych np. z potrzebą przeszkolenia personelu, opracowaniem nowych wytycznych klinicznych czy też zasad zmiany diagnostyki.

Objęcie refundacją produktu leczniczego HyQvia we wskazaniu leczenia CIDP pozwoli na rozszerzenie spektrum dostępnych terapii. Jednym z głównych problemów wskazanym przez pacjentów w leczeniu CIDP jest konieczność odbywania częstych wizyt w ośrodkach opieki medycznej, często znajdujących się w dużej odległości od miejsca zamieszkania. Możliwość podskórnego podawania immunoglobulin cechuje się zredukowaną liczbą ogólnoustrojowych działań niepożądanych w porównaniu z IVIg, w tym najbardziej uciążliwych dla pacjentów jak np. bóle głowy, nudności, niedokrwistość hemolityczna, które utrudniały przestrzeganie zaleceń lekarskich. Klasyczne SCIG, dostępne do tej pory dla chorych, pomimo większej koncentracji immunoglobulin niż IVIg związane są z cotygodniową koniecznością podania. HyQvia jest pierwszą i jedyną immunoglobuliną do ułatwionego podawania podskórnego, z unikalną formulacją, umożliwiającą podanie większych objętości w krótszym czasie (fSCIG). Charakteryzuje się innowacyjnym sposobem infuzji podskórnej, uwzględniającym wstępne zastosowanie rekombinowanej hialuronidazy, która ma wpływ na zwiększenie biodostępności leku oraz umożliwia podawanie większych objętości i dawek immunoglobulin i przekłada się na mniejszą częstość infuzji, mniejszą liczbę miejsc wkłucia, krótszy czas podania, mniejsze zużycie zasobów medycznych i obciążenie chorego. Produkt leczniczy HyQvia może być podawane rzadziej niż inne produkty SCIG – preparat HyQvia podaje się podskórnym, co trzy lub cztery tygodnie, (*APD HyQvia 2024*).

## 13 Załączniki

### 13.1 Wkład autorów w opracowanie raportu

Autorzy	Udział w opracowaniu raportu
[REDAKCYJA NAUKOWA]	redakcja naukowa bieżące konsultacje projekt metodologiczny ocena jakości i ostateczna weryfikacja raportu
[OPIS METODYKI ORAZ WYNIKÓW]	przygotowanie modelu obliczeniowego opis metodyki oraz wyników przygotowanie oraz przeprowadzenie analizy wrażliwości korekta i formatowanie tekstu
[OSZACOWANIE UDZIAŁÓW RYNKOWYCH]	oszacowanie udziałów rynkowych opis metodyki oszacowanie liczebności populacji
[OCENA JAKOŚCI RAPORTU]	przygotowanie modelu obliczeniowego bieżące konsultacje ocena jakości raportu i ostateczna weryfikacja raportu

## 13.2 Zużycie immunoglobulin w populacji chorych na CIDP, w scenariuszu istniejącym i nowym

Tabela 41. Zużycie immunoglobulin w populacji CIDP (terapia podtrzymująca) - scenariusz istniejący vs scenariusz nowy.

Terapia	2025	2026	2027	2028
<b>Scenariusz istniejący</b>				
IVIg (TeP) [g]	■	■	■	■
SClg (TeP) [g]	■	■	■	■
fSClg	■	■	■	■
Razem [g]	■	■	■	■
<b>Scenariusz nowy</b>				
IVIg (TeP) [g]	■	■	■	■
SClg (TeP) [g]	■	■	■	■
fSClg (TeP)-zastępowanie SClg [g]	■	■	■	■
fSClg (TeP) – zastępowanie IVIg [g]	■	■	■	■
Razem [g]	■	■	■	■

Tabela 42. Zużycie HyQvia i Hizentra względem opakowań - scenariusz istniejący vs scenariusz nowy.

Terapia	2025	2026	2027	2028
<b>Scenariusz istniejący</b>				
Hizentra 0,2 g/ml, 10 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 20 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 5 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 50 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 100 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 200 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 25 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 300 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 50 ml	■	■	■	■
<b>Scenariusz nowy</b>				
Hizentra 0,2 g/ml, 10 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 20 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 5 ml	■	■	■	■
Hizentra 0,2 g/ml, 50 ml	■	■	■	■

HyQvia  
immunoglobulina ludzka normalna (fSClg)

w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP)

Terapia	2025	2026	2027	2028
HyQvia 100 mg/ml, 100 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 200 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 25 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 300 ml	■	■	■	■
HyQvia 100 mg/ml, 50 ml	■	■	■	■

## Spis Tabel

Tabela 1. Aktualne warunki refundacji produktu leczniczego HyQvia (MZ 18/12/2024).....	14
Tabela 2. Wnioskowane ceny urzędowe produktu leczniczego HyQvia.....	14
Tabela 3. Wnioskowane warunki objęcia refundacją produktu leczniczego HyQvia.....	15
Tabela 4. Ludność Polski (GUS 2023).....	17
Tabela 5. Chorobowość CIDP.....	17
Tabela 6. Odsetek chorych na CIDP z niepowodzeniem leczenia glikokortykosteroidami.....	19
Tabela 7. Oszacowanie epidemiologiczne liczebności populacji docelowej.....	19
Tabela 8. Oszacowanie liczby pacjentów leczonych lekiem Hizentra w ramach programu B.67 w 2024 r.....	20
Tabela 9. Liczba osób leczonych immunoglobulinami w ramach programu lekowego B.67 (dane rzeczywiste + prognoza; źródło: Sprawozdania Rady NFZ).....	20
Tabela 10. Oszacowanie liczebności populacji docelowej w oparciu o dane NFZ.....	21
Tabela 11. Oszacowanie liczebności populacji otrzymującej leczenie immunoglobulinami podskórnymi w oparciu o dane NFZ (lata kalendarzowe).....	23
Tabela 12. Oszacowanie liczebności populacji docelowej w oparciu o dane NFZ (lata horyzontu czasowego).....	23
Tabela 13. Udziały opakowań leku Hizentra w scenariuszu istniejącym.....	25
Tabela 14. Liczebność wnioskowanej populacji docelowej – scenariusz istniejący (lata refundacyjne).....	26
Tabela 15. [REDAKOWANE].....	27
Tabela 16. Udziały opakowań leków HyQvia i Hizentra (fSClg i SClg) w scenariuszu nowym.....	28
Tabela 17. [REDAKOWANE].....	28
Tabela 18. Zastępowanie IVIg przez fSClg – warianty podstawowy, minimalny i maksymalny.....	29
Tabela 19. Liczebność wnioskowanej populacji docelowej – scenariusz nowy.....	29
Tabela 20. Średnie ceny punktu rozliczeniowego dla świadczeń opieki zdrowotnej.....	30
Tabela 21. Ceny opakowań immunoglobulin (MZ 18/12/2024).....	31
Tabela 22. Ekstrapolacja zużycia immunoglobulin w 2024 r.....	33
Tabela 23. Liczba zrefundowanych mg Hizentra oraz liczba pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.67 (UR NFZ 3/2022/IV, UR NFZ 8/2023/IV, UR NFZ 5/2024/IV).....	33
Tabela 24. Ekstrapolacja zużycia immunoglobulin dożylnych.....	34
Tabela 25. Świadczenia związane z podaniem leków stosowanych w ramach programu lekowego (NFZ 76/2024/DGL).....	35
Tabela 26. Wycena rocznego ryczałtu za diagnostykę w programie leczenia CIDP (NFZ 76/2024/DGL).....	37
Tabela 27. Dane wejściowe przyjęte w wariantcie podstawowym.....	37
Tabela 28. Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczenia (oszacowanie na 2024 r.).....	40
Tabela 29. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, z RSS.....	41



---

Tabela 30. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, bez RSS. ....	43
Tabela 31. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant podstawowy. ....	44
Tabela 32. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, z RSS. ....	45
Tabela 33. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, bez RSS. ....	46
Tabela 34. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant minimalny. ....	48
Tabela 35. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, z RSS. ....	49
Tabela 36. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, bez RSS. ....	50
Tabela 37. Prognozowane zużycie leku HyQvia – wariant maksymalny. ....	52
Tabela 38. Wyniki analizy wrażliwości – z uwzględnieniem RSS. ....	53
Tabela 39. Wyniki analizy wrażliwości – bez uwzględnienia RSS. ....	55
Tabela 40. Aspekty społeczne i etyczne związane z decyzją o podwyższeniu ceny produktu HyQvia. ....	57
Tabela 41. Zużycie immunoglobulin w populacji CIDP (terapia podtrzymująca) - scenariusz istniejący vs scenariusz nowy. ....	62
Tabela 42. Zużycie HyQvia i Hizentra względem opakowań - scenariusz istniejący vs scenariusz nowy. ....	62

## Spis Wykresów

Wykres 1. Oszacowanie liczebności populacji docelowej. ....	22
Wykres 2. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, z RSS. ....	42
Wykres 3. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant podstawowy, bez RSS. ....	44
Wykres 4. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, z RSS. ....	46
Wykres 5. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, bez RSS. ....	48
Wykres 6. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, z RSS. ....	50
Wykres 7. Wyniki analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, bez RSS. ....	52
Wykres 8. Wydatki płatnika na leczenie podtrzymujące CIDP– scenariusz nowy, horyzont 3-letni, wynik skumulowany, z uwzględnieniem RSS. ....	54
Wykres 9. Wydatki płatnika na leczenie podtrzymujące CIDP – scenariusz nowy, horyzont 3-letni, wynik skumulowany, bez uwzględnienia RSS. ....	56

## Piśmiennictwo

- AE HyQvia 2024** Aestimo s.c. HyQvia (immunoglobulina ludzka normalna [fSClg]) w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej demielinizacyjnej polineuropatii. Analiza ekonomiczna. Kraków 2024.
- AOTMiT 05/06/2023** Obwieszczenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 5 czerwca 2023 r. w sprawie rekomendacji nr 54/2023 z dnia 31 maja 2023 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej. Dostęp online: [https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2023/052/REK/2023%2006%2005%20Obwieszczenie\\_rek\\_54\\_2023%20publikacja%20BIP.pdf](https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/052/REK/2023%2006%2005%20Obwieszczenie_rek_54_2023%20publikacja%20BIP.pdf). Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- AOTMiT 07/2022** Raport w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 1352)
- AOTMiT 13/06/2024** Obwieszczenie Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 13 czerwca 2024 r. w sprawie rekomendacji nr 48/2024 z dnia 24 maja 2024 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej
- AOTMiT 2016** Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment), wersja 3.0. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Warszawa, sierpień 2016.
- AOTMiT 65/2022** Rekomendacja nr 65/2022 z dnia 13 lipca 2022 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej.
- AOT-MiT WT.543.5.2024** Raport w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 2139)
- APD HyQvia 2024** Aestimo s.c. HyQvia (immunoglobulina ludzka normalna [fSClg]) w leczeniu podtrzymującym przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP). Analiza problemu decyzyjnego. Kraków, 2024.
- AWA Hizentra 2020** AOTMiT. Wniosek o objęcie refundacją leku Hizentra (immunoglobulina ludzka normalna) we wskazaniu: „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych (ICD-10: G61.8, G62.8, G63.1, G70, G04.8, G73.1, G73.2, G72.4, G61.0, G36.0, M33.0, M33.1, M33.2)”. Analiza weryfikacyjna Nr: OT.4331.64.2019. Data ukończenia: 17 stycznia 2020 r. Dostęp online: <https://bipold.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2019/908-materialy-2019/6436-277-2019-zl>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- Broers 2019** Broers MC, Bunschoten C, Nieboer D, Lingsma HF, Jacobs BC. Incidence and Prevalence of Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Neuroepidemiology*. 2019;52(3-4):161-172. doi: 10.1159/000494291. Epub 2019 Jan 22. PMID: 30669140; PMCID: PMC6518865.
- Broers 2022** Broers MC, de Wilde M, Lingsma HF, van der Lei J, Verhamme KMC, Jacobs BC. Epidemiology of chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy in The Netherlands. *J Peripher Nerv Syst*. 2022 Sep;27(3):182-188. doi: 10.1111/jns.12502. Epub 2022 May 29. PMID: 35567759; PMCID: PMC9545265.
- ChPL HyQvia** Charakterystyka produktu leczniczego HyQvia. Dostęp online: <https://www.ema.europa.eu/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.

- ChPL Kiovig** Charakterystyka produktu leczniczego Kiovig. Dostęp online: <https://www.ema.europa.eu/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- Cocito 2010** Cocito D, Paolasso I, Antonini G, Benedetti L, Briani C, Comi C, Fazio R, Jann S, Matà S, Mazzeo A, Sabatelli M, Nobile-Orazio E; Italian Network for CIDP Register. A nationwide retrospective analysis on the effect of immune therapies in patients with chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy. *Eur J Neurol.* 2010 Feb;17(2):289-94. doi: 10.1111/j.1468-1331.2009.02802.x. Epub 2009 Oct 23. PMID: 19863650.
- DGL 01/03/2024** Raport refundacyjny z dnia 1.03.2024 r. Centrali NFZ dotyczący wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń-grudzień 2023 r.
- GUS 2023** Prognoza ludności rezydującej dla Polski na lata 2023-2060 (poziom - powiaty). 20.12.2023. Dostęp on-line: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/prognoza-ludnosc/prognoza-ludnosc-rezydujacej-dla-polski-na-lata-2023-2060-poziom-powiaty,12,1.html>
- MZ 18/12/2024** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2024 r.
- MZ 22/08/2020** Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 września 2020 r.
- MZ 24/10/2023** 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 urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.
- NFZ 109/2024/DGL** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 109/2024/DGL z dnia 07-11-2024 zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe
- Nobile-Orazio 2012** Nobile-Orazio E., Cocito D., Jann S., Uncini A., Beghi E., Messina P., Antonini G., Fazio R., Gallia F., Schenone A., Francia A., Pareyson D., Santoro L., Tamburin S., Macchia R., Cavalletti G. Giannini F., Sabatelli M. Intravenous immunoglobulin versus intravenous methylprednisolone for chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy: a randomised controlled trial. *Lancet Neurol* 2012; 11: 493–502
- Orpha 2023** Orphanet Report Series - Prevalence of rare diseases: Bibliographic data – November 2023
- Park 2022** Park SB, Li T, Kiernan MC, Garg N, Wilson I, White R, Boggild M, McNabb A, Lee-Archer M, Taylor BV. Prevalence of chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy and multifocal motor neuropathy in two regions of Australia. *Muscle Nerve.* 2022 Nov;66(5):576-582. doi: 10.1002/mus.27698. Epub 2022 Aug 29. PMID: 36054471; PMCID: PMC9805140.
- Querol 2021** Querol L, Crabtree M, Herepath M, Priedane E, Viejo Viejo I, Agush S, Sommerer P. Systematic literature review of burden of illness in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy (CIDP). *J Neurol.* 2021 Oct;268(10):3706-3716. doi: 10.1007/s00415-020-09998-8. Epub 2020 Jun 24. PMID: 32583051; PMCID: PMC8463372.

- UR NFZ 2/2018/III** Uchwały Rady NFZ Nr 02/2018/III z dnia 08-03-2018 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2017 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 29/2024/IV** Uchwały Rady NFZ Nr 29/2024/IV z dnia 17-10-2023 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2024 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 28.10.2024 r.
- UR NFZ 3/2019/III** Uchwały Rady NFZ Nr 03/2019/III z dnia 19-03-2019 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2018 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 3/2022/IV** Uchwały Rady NFZ Nr 3/2022/IV z dnia 18-03-2022 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2021 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 4/2017/III** Uchwały Rady NFZ Nr 04/2017/III z dnia 16-03-2017 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2016 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 5/2021/IV** Uchwały Rady NFZ Nr 5/2021/IV z dnia 16-03-2021 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2020 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 5/2024/IV** Uchwały Rady NFZ Nr 5/2024/IV z dnia 02-04-2024 w sprawie przyjęcia okresowego Sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2023 r. Dostęp online do sprawozdania za rok 2023 oraz lata poprzednie: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 6/2020/III** Uchwały Rady NFZ Nr 6/2020/III z dnia 23-03-2020 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2019 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- UR NFZ 8/2023/IV** Uchwały Rady NFZ Nr 8/2023/IV z dnia 20-03-2023 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2022 r. Dostęp online: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/>. Data ostatniego dostępu: 17.04.2024 r.
- Ustawa 2011** Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z późn. zm. Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696
- van Lieverloo 2018** van Lieverloo GGA, Peric S, Doneddu PE, Gallia F, Nikolic A, Wieske L, Verhamme C, van Schaik IN, Nobile-Orazio E, Basta I, Eftimov F. Corticosteroids in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: A retrospective, multicentre study, comparing efficacy and safety of daily prednisolone, pulsed dexamethasone, and pulsed intravenous methylprednisolone. *J Neurol.* 2018 Sep;265(9):2052-2059. doi: 10.1007/s00415-018-8948-y. Epub 2018 Jul 2. PMID: 29968199; PMCID: PMC6132640.

**van Schaik 2010**

van Schaik IN, Eftimov F, van Doorn PA, Brusse E, van den Berg LH, van der Pol WL, Faber CG, van Oostrom JC, Vogels OJ, Hadden RD, Kleine BU, van Norden AG, Verschuuren JJ, Dijkgraaf MG, Vermeulen M. Pulsed high-dose dexamethasone versus standard prednisolone treatment for chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (PRE-DICT study): a double-blind, randomised, controlled trial. *Lancet Neurol.* 2010 Mar;9(3):245-53. doi: 10.1016/S1474-4422(10)70021-1. Epub 2010 Feb 2. PMID: 20133204.

**van Schaik 2018**

van Schaik IN, Brill V, Geloven N, Hartung HP, Lewis RA, Sobue G, Lawo JP, Praus M, Mielke O, Durn BL, Cornblath DR, Merkies ISJ. Subcutaneous immunoglobulin for maintenance treatment in chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy (PATH): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *The lancet Neurology* 2018; 17(1):35-46