



IGNORANTIA NOCET

Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu obrzęku plamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
Wersja 1.2

Wykonawca:

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

Przygotowano dla:

AbbVie Sp. z o.o.

Warszawa, 21.07.2025 r.

Osoby do kontaktu:

Cezary Pruszek

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

Michał Jachimowicz

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

MAHTA Sp. z o.o.

Warszawa 02-661
ul. Modra 90/111

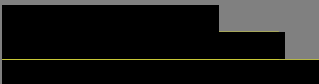
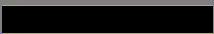
zarejestrowana w Sądzie
Rejonowym dla m.st. Warszawy,
XIII Wydział Gospodarczy
Krajowego Rejestru Sądowego

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

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

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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana 21 lipca 2025 r. w związku z uwagami zawartymi w piśmie OT.423.1.37.2025.11.MR z dnia 12 czerwca 2025 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
	⊗ Koncepcja analizy; ⊗ Kontrola jakości;
	⊗ Kontrola jakości
	⊗ Zdefiniowanie populacji; ⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej; ⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy; ⊗ Aspekty etyczne i społeczne ⊗ Ocena kosztów; ⊗ Wnioski końcowe

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

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy AbbVie Sp. z o.o., która finansowała pracę. Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....	11
2. Analiza wpływu na budżet	11
2.1. Metodyka analizy	11
2.2. Horyzont czasowy.....	12
2.3. Perspektywa	13
2.4. Scenariusze porównywane	13
2.5. Populacja.....	14
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	14
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	18
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana.....	21
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	22
2.5.5. Populacja docelowa, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	22
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach	24
2.6. Analiza kosztów	24
2.6.1. Deksametazon	25
2.6.2. Całkowite koszty różniące	25
2.7. Podsumowanie danych wejściowych	27
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy	34
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	34
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe.....	34
3. Analiza wrażliwości	36

4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	41
5. Aspekty etyczne i społeczne	41
6. Założenia i ograniczenia	45
7. Podsumowanie i wnioski końcowe	46
8. Załączniki	47
8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej.....	47
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	48
9. Spis tabel	50
10. Spis rysunków	51
11. Bibliografia.....	52

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	analiza weryfikacyjna AOTMiT
BCVA	ang. <i>best corrected visual acuity</i> – najlepsza skorygowana ostrość wzroku
BSC	ang. <i>best-supportive care</i> – najlepsze leczenie wspomagające
BRVO	ang. <i>branch retinal vein occlusion</i> – zakrzepy gałęzi żyły środkowej siatkówki
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CME	ang. <i>cystoid macular edema</i> - torbielowaty obrzęk plamki
CRVO	ang. <i>central retinal vein occlusion</i> – zakrzepy żyły środkowej siatkówki
DEX	deksametazon
DME	ang. <i>diabetic macular edema</i> – cukrzycowy obrzęk plamki
ETDRS	Ang. Early Treatment Diabetic Retinopathy Study - skala oceny progresji retinopatii cukrzycowej
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HRVO	ang. <i>half retinal vein occlusion</i> – zamknięcie naczyń żylnych obejmujących połowę siatkówki
ITA	acetamid triamcynolonu
IU	ang. <i>intermediate uveitis</i> – zapalenie części pośredniej błony naczyniowej
ME	ang. <i>macular edema</i> – obrzęk plamki
MZ	Minister Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NZBN	Nieinfekcyjne zapalenie błony naczyniowej
PAN	ang. <i>panuveitis</i> – zapalenie całej błony naczyniowej oka
PU	ang. <i>posterior uveitis</i> – zapalenie tylnego odcinka oka
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka
RVO	ang. <i>Retinal Vein Occlusion</i> – niedrożność żył siatkówki
ZBN	zapalenie błony naczyniowej

Streszczenie

CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, w ramach programu lekowego.

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

METODYKA

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy płatnika publicznego (NFZ). Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od 1 stycznia 2026 do końca grudnia 2027 roku.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią dorośli chorzy z zaburzeniami widzenia spowodowanymi obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki (RVO), w tym gałęzi żyły środkowej siatkówki (BRVO) lub żyły środkowej siatkówki (CRVO). Wnioskowane wskazanie jest zgodne z zapisami *ChPL Ozurdex®*. Charakterystyka populacji docelowej została szczegółowo doprecyzowana zapisami wnioskowanego Programu lekowego B.70. Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Obrzęk płamki wtórny do RVO jest chorobą przewlekłą i wymaga długotrwałego leczenia. Intensywny schemat iniekcji ma znaczący, negatywny wpływ na jakość życia chorych. Chorzy z RVO odczuwają niepokój, problemy ze snem i obniżoną koncentrację. Dlatego też innowacyjne terapie, które wpłyną na zmniejszenie częstości leczenia, mogą zmniejszyć obciążenie lękowe odczuwane przez chorych z RVO. Jak podkreśla prof. Marek Rękas, Konsultant Krajowy w dziedzinie okulistyki, kierownik Kliniki Okulistyki w Wojskowym Instytucie Medycznym, obecnie istnieje potrzeba wprowadzenia nowych programów lekowych, a szczególnie rozwinięcie ich w zakresie zakrzepu żyły środkowej siatkówki, która występuje także u sporej populacji młodych pacjentów. Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, nieleczony zakrzep żyły środkowej siatkówki po stu dniach prowadzi do rozwinięcia jaskry krwotocznej, której konsekwencją może być ślepota, a nawet konieczność usunięcia oka. Prof. Rękas podkreślił, że chociaż RVO jest chorobą, którą leczy się tak samo jak AMD i DME, to dostęp do terapii jest utrudniony. Od kwietnia 2025 roku w Polsce program lekowy dedykowany chorobom siatkówki rozszerzono o wskazanie RVO. Póki co dostępny w refundacji, w ramach wspomnianego programu lekowego jest jedynie

jeden anty-VEGF - bewacyzumab. Oznacza to, że obecnie chorzy na RVO mają znacznie ograniczony w porównaniu do chorych z DME i nAMD, dostęp do systematycznego leczenia. **Powyższe potwierdza zatem znaczną niezaspokojoną potrzebę w populacji docelowej, a także wskazuje na nierówny dostęp do technologii lekowych w przypadku chorób siatkówki.**

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: *Bazy SWIAD, Badania ankietowanego, raportu AOTMiT 2024, Sprawozdań NFZ*.

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której deksametazon nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego w analizowanym wskazaniu. W scenariuszu tym, w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki stosowany jest acetonid triamcynolonu (ITA) w postaci iniekcji doszklistkowej. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której deksametazon stosowany w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki będzie finansowany ze środków publicznych w ramach *Wykazu leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej lek dostępny w ramach programu lekowego.

Całkowite koszty (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie:

- ⊕ kosztów leków wraz z kosztem podania,
- ⊕ kosztów kwalifikacji, diagnostyki i monitorowania skuteczności leczenia,

ocenionych w perspektywie płatnika publicznego. Koszty wynikające z zastosowania poszczególnych schematów postępowania terapeutycznego przyjęto na podstawie wyników przeprowadzonej *Analizy ekonomicznej*.

Cenę jednostkową deksametazonu wyznaczono na podstawie danych od Wnioskodawcy oraz aktualnego *Obwieszczenia MZ w sprawie wykazu leków refundowanych*.

Wydatki płatnika publicznego określono w sytuacji braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych w uwzględnianym wskazaniu, to jest w przypadku utrzymania obecnej sytuacji na rynku (scenariusz istniejący), a także po uwzględnieniu zakładanego sposobu refundowania technologii wnioskowanej (scenariusz nowy). Finalnie wyznaczono inkrementalne wydatki płatnika publicznego, czyli różnicę pomiędzy scenariuszem prognozowanym (nowym) a scenariuszem istniejącym. Dla każdego ze

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

W obliczeniach analizy uwzględniono założenia proponowanej przez Podmiot odpowiedzialny umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego przedstawiono w związku z tym w dwóch wersjach: bez i z uwzględnieniem proponowanego przez Podmiot RSS.

W ramach analizy przeprowadzono analizę wrażliwości zakładającą zmienność: kosztów leczenia oraz rozpowszechnienia stosowania technologii wnioskowanej.

WYNIKI

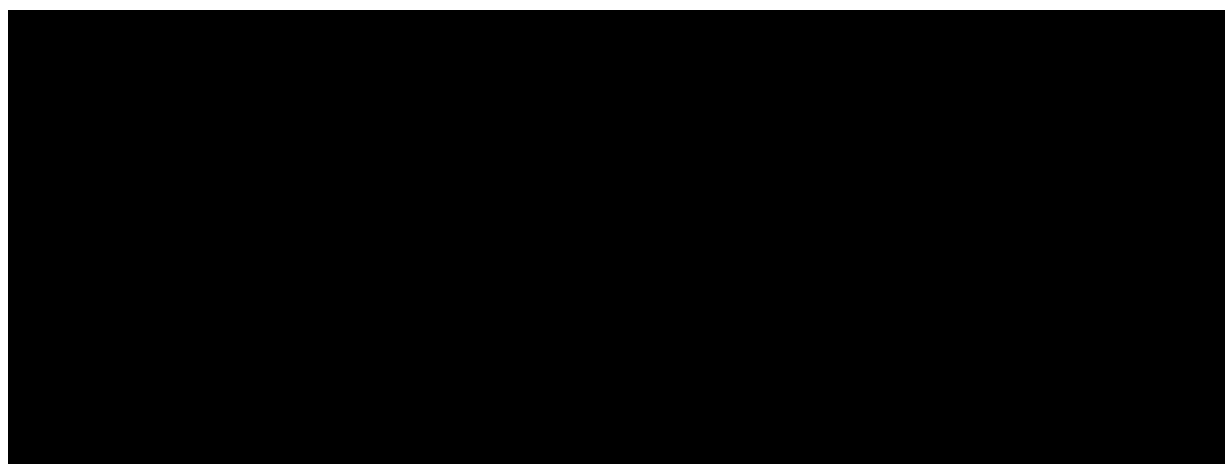
Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej wynosi w wariacie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym)



Wydatki inkrementalne



Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS



Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku analizy	Wartość inkrementalna w 2. roku analizy
Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)		
Minimalny	2 088 962,70	2 787 093,77

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku analizy	Wartość inkrementalna w 2. roku analizy
Prawdopodobny	2 231 360,20	2 871 093,37
Maksymalny	2 426 296,21	2 986 085,18

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu deksametazonu (Ozurdex®) do finansowania w *Wykazie leków refundowanych* w ramach programu lekowego, w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki.

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku Ozurdex® będzie udostępnienie chorym nowej opcji terapeutycznej dostępnej w ramach programu lekowego i zwiększenie ich szans na skuteczne leczenie obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki.

będzie mogło skorzystać z nowoczesnej terapii o udowodnionej skuteczności klinicznej i korzystnym profilu bezpieczeństwa. Decyzji o finansowaniu ze środków publicznych technologii wnioskowanej spowoduje wzrost wydatków płatnika.

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

Finansowanie deksametazonu przyczyni się do zwiększenia spektrum terapeutycznego w leczeniu obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki i tym samym umożliwi specjalistom w tej dziedzinie wybór terapii najkorzystniejszej dla określonego chorego.

Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy komparatora (acetamid triamcynolonu) nie może zostać uznane za satysfakcjonujące z uwagi na to, iż: ITA finansowany wyłącznie w ramach procedury JGP B84, jest opcją stosowaną poza wskazaniem rejestracyjnym, a dodatkowo produkty lecznicze zawierające tę substancję czynną muszą być sprowadzane do Polski w ramach importu docelowego, wymaga częstszego podania niż DEX ze względu na krótkotrwałe działanie. Implant DEX jest skuteczny w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, a łatwość podania i korzystny profil ryzyka uzasadnia wybór tej terapii u chorych ze wskazaniem określonym we wniosku. Niezwykle ważnym aspektem jest wydłużenie odstępów między wizytami i podaniami leku, ponieważ lek jest skuteczny do 6 miesięcy od wstrzyknięcia implantu. Ze względu na ograniczoną rozpuszczalność triamcynolonu, pożądane stężenie tego leku w ciele szklistym utrzymuje się krócej, tj. przez około 3-4 miesiące po pojedynczym wstrzyknięciu.

Należy ponadto podkreślić, że w analizowanej jednostce chorobowej wysokie są również koszty społeczne, które nie zostały uwzględnione w analizie podstawowej.

1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, w ramach programu lekowego.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ozurdex® (deksametazon) w przedstawionym wskazaniu.

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

2. Analiza wpływu na budżet

2.1. Metodyka analizy

1. Zdefiniowano populację docelową dla technologii wnioskowanej na podstawie odnalezionych źródeł danych przytoczonych w rozdziale 2.5.
2. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego, począwszy od stycznia 2026 roku.
3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (triamcynolon podawany do ciała szklanego).
5. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.

6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W tym przypadku, wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera co oznacza dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
8. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
9. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań oraz Wytycznymi AOTMiT* horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi na rynku (tj. osiągnięcia docelowej stabilnej wielkości refundacji bądź liczby leczonych chorych) oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od 1 stycznia 2026 do końca grudnia 2027 roku. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego B.70*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny oraz ogranicza stosowanie technologii medycznej do wybranych ośrodków kontraktujących program lekowy. W tej sytuacji stabilizacja rynku powinna nastąpić w okresie 2 lat od wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej.

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

2.3. Perspektywa

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

- ⊕ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (zgodnie z art. 14 *Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* jest nim płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia);
- ⊕ z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

Ze względu na znikomy koszt ponoszony przez świadczeniobiorców w zestawieniu z kosztem ponoszonym przez płatnika publicznego (koszty dla świadczeniobiorcy dotyczą jedynie dodatkowych leków - antybiotyków, które podawane są przy iniekcjach), uznano iż możliwe jest przyjęcie, że koszty w obu perspektywach są tożsame i w niniejszym dokumencie prezentowane są jedynie wyniki w perspektywie płatnika publicznego.

2.4. Scenariusze porównywane

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

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki w ramach programu lekowego. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w ramach istniejącej już grupy limitowej 1161.1, *Deksametazon w postaci implantów do ciała szklanego*, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1).

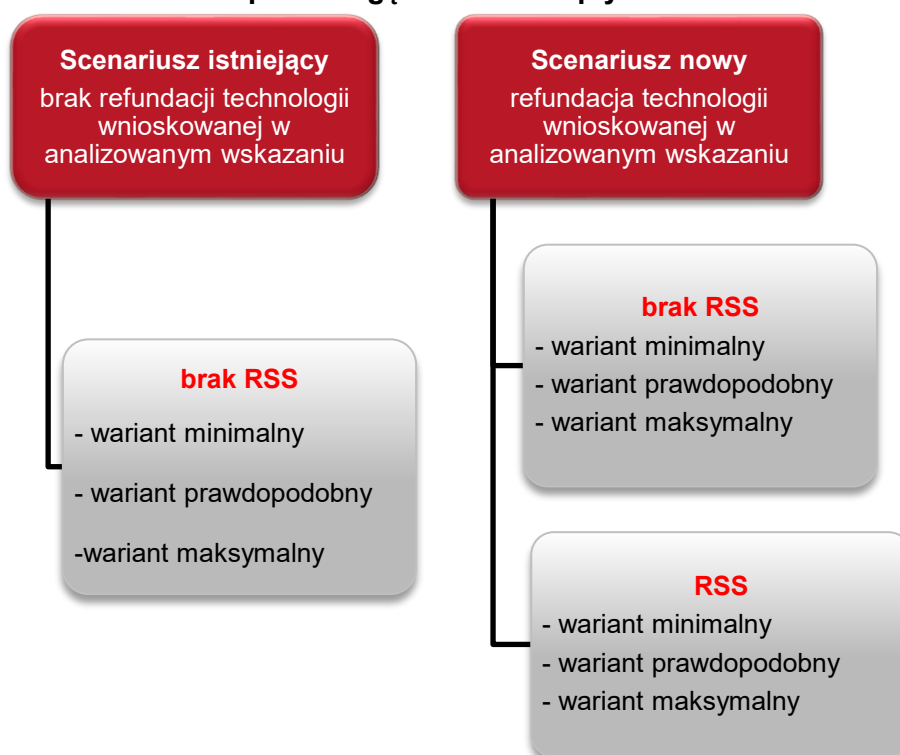
Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

Wyniki analizy przedstawiono w dwóch wersjach: bez wprowadzenia instrumentów dzielenia ryzyka oraz po wprowadzeniu proponowanych instrumentów dzielenia ryzyka (RSS, ang. *Risk Sharing Scheme*).

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

Rysunek 1.

Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet



2.5. Populacja

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

Aby wyznaczyć populację, w której deksametazon może być stosowany, wykorzystano najbardziej aktualne dane dotyczące zarejestrowanych i obecnie refundowanych wskazań dla leku Ozurdex®.

Zgodnie z treścią *Charakterystyki Produktu Lekczniczego* (ChPL), produkt leczniczy Ozurdex® jest wskazany do stosowania w leczeniu dorosłych z:

- obrzękiem plamki spowodowanym niedrożnością gałęzi żyły środkowej siatkówki (BRVO) lub niedrożnością żyły środkowej siatkówki (CRVO);
- zaburzeniami widzenia spowodowanymi cukrzycowym obrzękiem plamki (DME, ang. *diabetic macular edema*), z pseudofakią lub uznanych za niedostatecznie reagujących na leczenie inne niż leczenie kortykosteroidami lub niemogących poddać się takiemu leczeniu;
- zapaleniem tylnego odcinka oka objawiającym się jako nieinfekcyjne zapalenie błony naczyniowej (ZBN) [ChPL Ozurdex®].

Przedmiot wniosku dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Ozurdex® (deksametazon) stosowanego w leczeniu obrzęku plamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki.

Cukrzycowy obrzęk plamki

Na podstawie opinii eksperta klinicznego zamieszczonej w Analizie Weryfikacyjnej dla leku Ozurdex® w ramach programu lekowego „Leczenie zaburzeń widzenia spowodowanych cukrzycowym obrzękiem plamki (DME)” [AWA Ozurdex 2016], DME może dotyczyć ok. 15-18 tys. pacjentów, z czego u 10% chorych obserwowane jest niedostateczna reakcja na dotychczasowe leczenie. Wskazanie dla leku Ozurdex® mogłoby zatem spełniać 1 500 – 1 800 chorych.

Liczbę chorych u których wnioskowana technologia może zostać zastosowana w ramach wskazania DME oszacowano również na podstawie Sprawozdań NFZ. Liczba chorych objętych programem B70 w roku 2024 wynosiła 10 711 (diagnostyka¹). W tym leczonych deksametazonem było 1 208 chorych.

Zapalenie Błony Naczyniowej (ZBN)

Liczbę chorych u których wnioskowana technologia może zostać zastosowana w ramach wskazania ZBN oszacowano na podstawie Sprawozdań NFZ. Liczba chorych objętych

¹ DIAGNOSTYKA W PROGRAMIE LECZENIA PACJENTÓW Z CHOROBYMI SIATKÓWKI - (DME) - MONITOROWANIE

programem B105 w roku 2024 wynosiła 117 (diagnostyka). W tym leczonych deksametazonem było 72 chorych.

Obrzęk płamki spowodowany niedrożnością żyły środkowej (CRVO) lub gałązki żyły środkowej siatkówki (BRVO)

Liczbę wszystkich chorych z zaburzeniami widzenia spowodowanymi obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki określono na podstawie danych z Głównego Urzędu Statystycznego (GUS) dotyczących liczby ludności w Polsce w wieku powyżej 40 r.ż. [Dane GUS], danych z wytycznych PTO 2014², w której wskazano częstość występowania zakrzepu żyły centralnej siatkówki oraz danych z *Raportu AOTMiT 2022*, w którym wskazano odsetek chorych z obrzękiem płamki wśród chorych z RVO w Polsce. W poniższej tabeli przedstawiono oszacowaną liczbę chorych biorąc pod uwagę wskazane powyżej źródła i dane epidemiologiczne.

Tabela 1.
Liczba chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki – oszacowanie na podstawie danych epidemiologicznych

Parametr	Wartość	Źródło
Ludność powyżej 40 r. ż.	20 195 032	Prognoza GUS na rok 2024 [Dane GUS]]
Częstość występowania zakrzepu żyły centralnej siatkówki - dolny zakres	0,10%	PTO 2014
Częstość występowania zakrzepu żyły centralnej siatkówki - górny zakres	0,40%	PTO 2014
Liczba chorych z RVO - minimalny wariant	20 195	Oszacowanie własne na podstawie <i>Danych GUS</i> oraz wytycznych <i>PTO 2014</i>
Liczba chorych z RVO - maksymalny wariant	80 780	Oszacowanie własne na podstawie <i>Danych GUS</i> oraz wytycznych <i>PTO 2014</i>
Odsetek chorych z obrzękiem płamki	50%	<i>Raport AOTMiT 2022</i>

² Częstość występowania zakrzepu żyły centralnej siatkówki u osób >40. r.ż. wynosi od 0,1% do 0,4% i wzrasta wraz z wiekiem. Około 90% chorych na RVO to osoby w wieku >50 lat [PTO 2014]

Parametr	Wartość	Źródło
Dorośli chorzy z zaburzeniami widzenia spowodowanymi obrzękiem płamki (ME) wtórnym do niedrożności żył siatkówki (RVO) - minimalny wariant	10 098	Oszacowanie własne na podstawie <i>Danych GUS</i> , wytycznych <i>PTO 2014</i> oraz danych z <i>Raportu AOTMiT 2022</i>
Dorośli chorzy z zaburzeniami widzenia spowodowanymi obrzękiem płamki (ME) wtórnym do niedrożności żył siatkówki (RVO) - maksymalny wariant	40 390	Oszacowanie własne na podstawie <i>Danych GUS</i> , wytycznych <i>PTO 2014</i> oraz danych z <i>Raportu AOTMiT 2022</i>

W związku z szerokim zakresem oszacowanej populacji chorych przedstawiono dodatkowo oszacowania zaprezentowane w *Raporcie AOTMiT 2022*. W tabeli poniżej przedstawiono alternatywne oszacowanie populacji z RVO.

Tabela 2.

Liczba chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki – oszacowanie na podstawie danych z Raportu AOTMiT 2022

Parametr	Wartość	Źródło
Chorzy z RVO w Polsce	25 000	<i>Raport AOTMiT 2022</i>
Odsetek chorych z obrzękiem płamki	50%	<i>Raport AOTMiT 2022</i>
Chorzy z RVO z obrzękiem płamki	12 500	<i>Raport AOTMiT 2022</i>

W tabeli poniżej przedstawiono zestawienie oszacowania liczebności populacji badanej dla wnioskowanej technologii medycznej.

Tabela 3.

Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Wskazanie	Liczba chorych	Źródło
DME	ok. 1200	Sprawozdania NFZ
ZBN	ok. 70	Sprawozdania NFZ
RVO	12 500	<i>Raport AOTMiT 2022</i>
Łącznie	ok. 14 tys.	Sprawozdania NFZ; <i>Raport AOTMiT 2022</i>

Podsumowanie

Uwzględniając całkowitą liczebność populacji chorych we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach oszacowano, że liczebność populacji, w której wnioskowana technologia może być stosowana w Polsce, wynosi ok. 14 tys. chorych.

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wniosek refundacyjny dla leku Ozurdex® dotyczy dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki. Obejmuje zatem jedno ze wskazań określone w *ChPL Ozurdex®*.

Rozpatrywaną kategorią dostępności refundacyjnej dla leku Ozurdex® (deksametazon) jest program lekowy, określone są zatem kryteria kwalifikacji do leczenia deksametazonem w postaci implantu. Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie (populacja docelowa) jest doprecyzowana względem wskazania z Charakterystyki Produktu Leczniczego zawężającymi zapisami wnioskowanego programu lekowego.

W związku z szerokim zakresem zmienności populacji z RVO oszacowanej na podstawie danych epidemiologicznych, wytycznych *PTO 2014* i *Raportu AOTMiT 2022*, w celu oszacowania populacji docelowej zgodnej z zapisami wnioskowanego programu lekowego przeanalizowano najnowsze dostępne dane z raportów AOTMiT [AOTMiT 2024], dane NFZ (baza SWIAD), Sprawozdania NFZ oraz wyniki z przeprowadzonego *Badania ankietowanego*.

W tabeli poniżej zestawiono dane historyczne od 2014 roku dotyczące liczby dorosłych pacjentów (unikalne numery PESEL) z rozpoznaniem głównym i/lub współistniejącym ICD-10: H34 [AOTMiT 2024].

Tabela 4.
Liczebność populacji (unikalne numery id) wnioskowanej wg danych NFZ – liczba dorosłych pacjentów z rozpoznaniem głównym i/lub współistniejącym ICD-10: H34 (baza SWIAD)

ICD10/Rok	2014	2015	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023
H34	5573	6019	6079	6249	6130	6242	5031	5441	5689	6372

Analizując powyższe dane można dostrzec, iż liczba chorych jest stabilna w kolejnych latach zestawionych powyżej danych historycznych.

Populacja docelowa chorych kwalifikujących się do leczenia DEX jest zawężona w stosunku do wskazanych powyżej danych - ograniczona kryteriami włączenia do programu lekowego.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 5.
Liczba chorych kwalifikujących się do leczenia w programie lekowym we wskazaniu RVO

[Redacted table content]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 6.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 7.
Liczba chorych z populacji docelowej

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

chorych objętych programem B105 w roku 2024 wynosiła 117 (diagnostyka). W tym leczonych deksametazonem było 72 chorych [Sprawozdania NFZ].

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

W przypadku braku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji terapii deksametazonem, lek Ozurdex® będzie stosowany, podobnie jak dotychczas w ramach programu lekowego DME i ZBN (rozdział 2.5.3.).

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

Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie nie pokrywa się z populacją chorych, u których technologia wnioskowana może być stosowana, tj. populacją określoną w *Charakterystyce Produktu Leczniczego Ozurdex®*. Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym obejmuje dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, u których spełnione są kryteria kwalifikacji do programu lekowego. Liczebność chorych na RVO została oszacowana w rozdziale 2.5.2.

2.5.5.1. Udziały w rynku

W scenariuszu istniejącym założono, iż jedyną dostępną miejscową terapią steroidową jest triamcynolon podawany w formie iniekcji do ciała szklistego. 










2.5.5.2. Liczba chorych stosujących technologię wnioskowaną i komparator

Liczebność chorych na RVO została oszacowana w rozdziale 2.5.2. W tabelach poniżej przedstawiono strukturę rynku w scenariuszu istniejącym oraz scenariusz nowym.

Tabela 9.
Struktura rynku w scenariuszu istniejącym



Tabela 10.
Struktura rynku w scenariuszu nowym

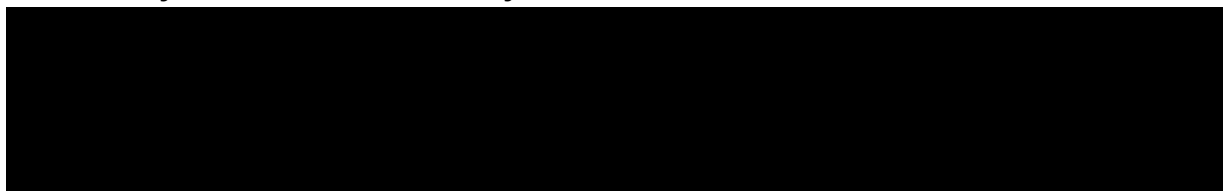
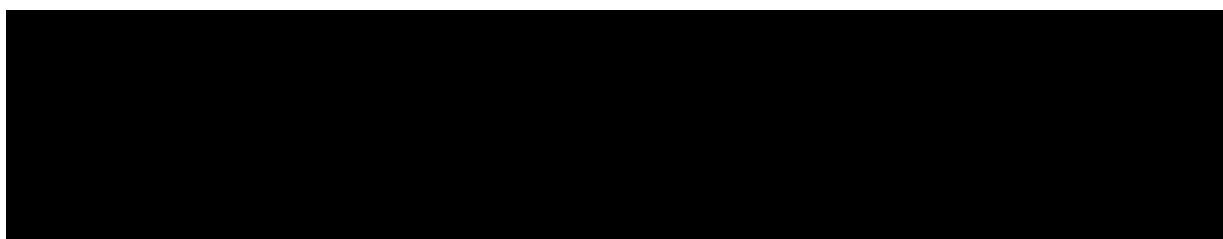


Tabela 11.
Liczebność chorych, u których technologia wnioskowana będzie zastosowana




2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

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

Tabela 12.
Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań

Populacja	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	Podstawa prawna
Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	ok. 14 tys.	art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. a
Populacja docelowa, wskazana we wniosku		art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. b
Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	ok. 1300	art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. c
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją		art. 6 ust. 1 pkt 2
Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	ok. 1300	art. 6 ust. 1 pkt 4

2.6. Analiza kosztów

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

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

-  koszty produktów leczniczych;

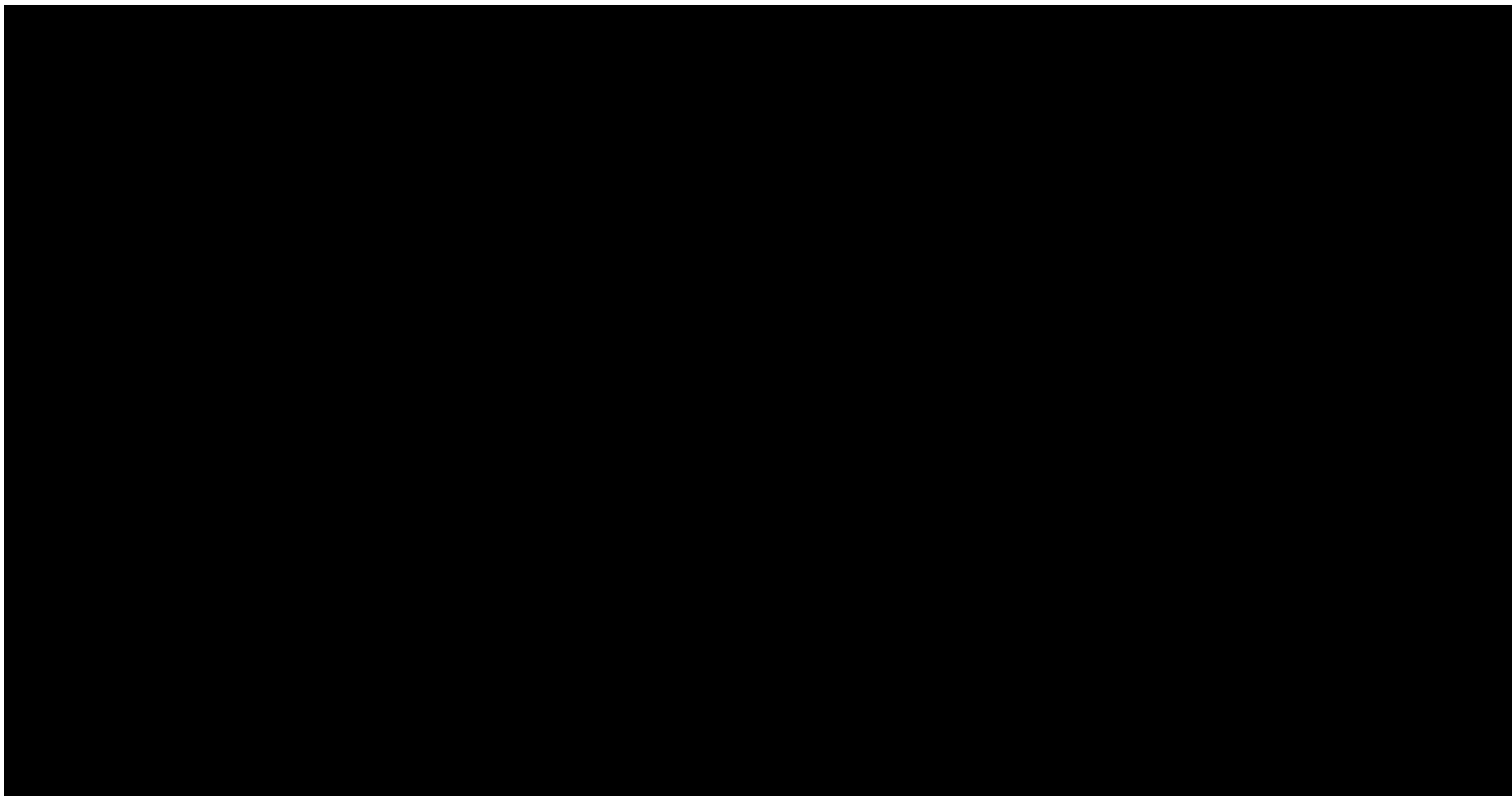
Całkowite koszty różniące oceniane technologie medyczne zostały podsumowane w poniższej tabelach w rozbiciu na składowe koszty całkowitego. Należy wziąć pod uwagę orientacyjny charakter poniższych wartości, który wynika z faktu, że w różnych cyklach modelu szacowana

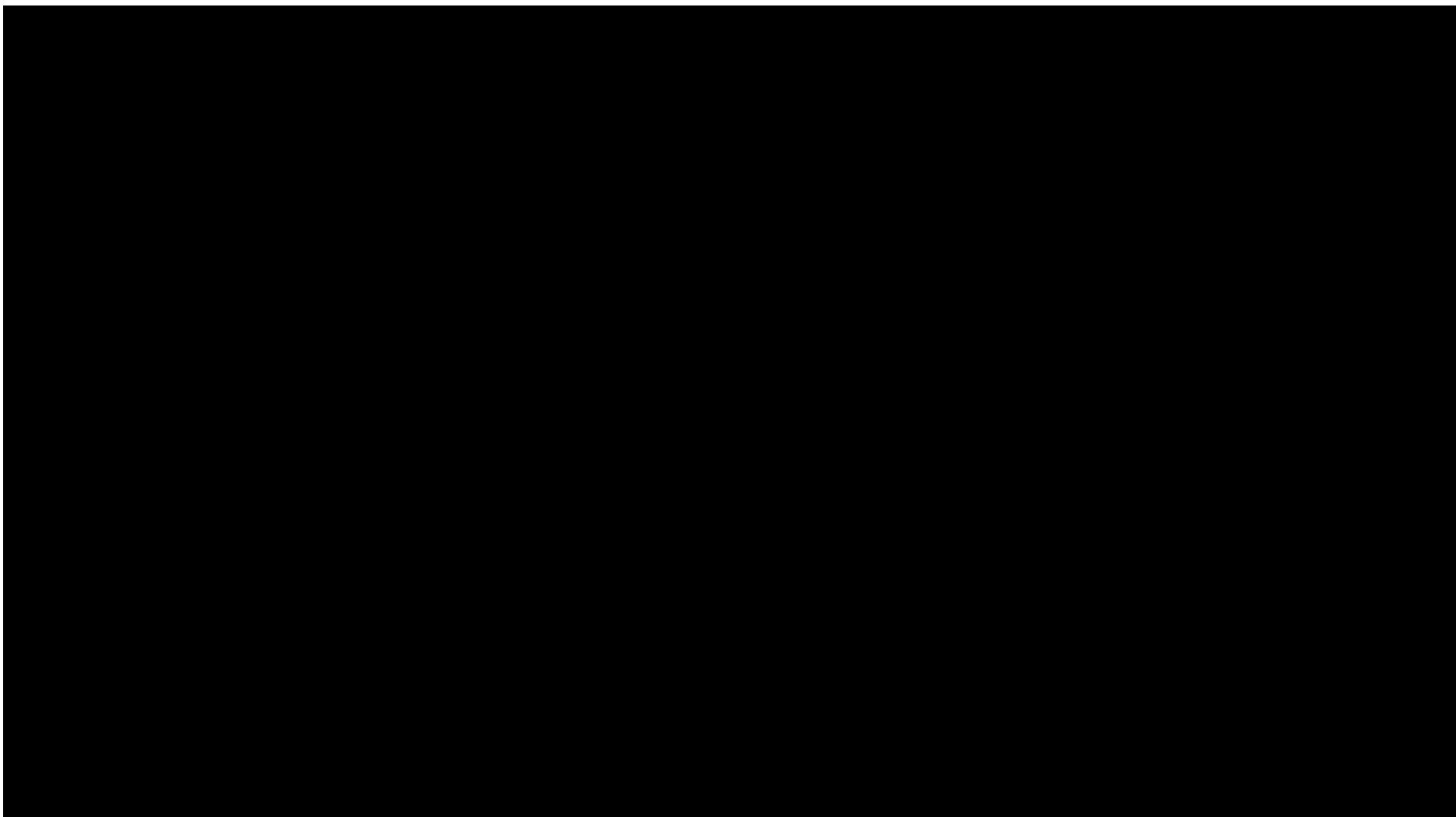
Koszty stosowania porównywanych technologii z uwzględnieniem RSS w przeliczeniu na cykl modelu (PLN)

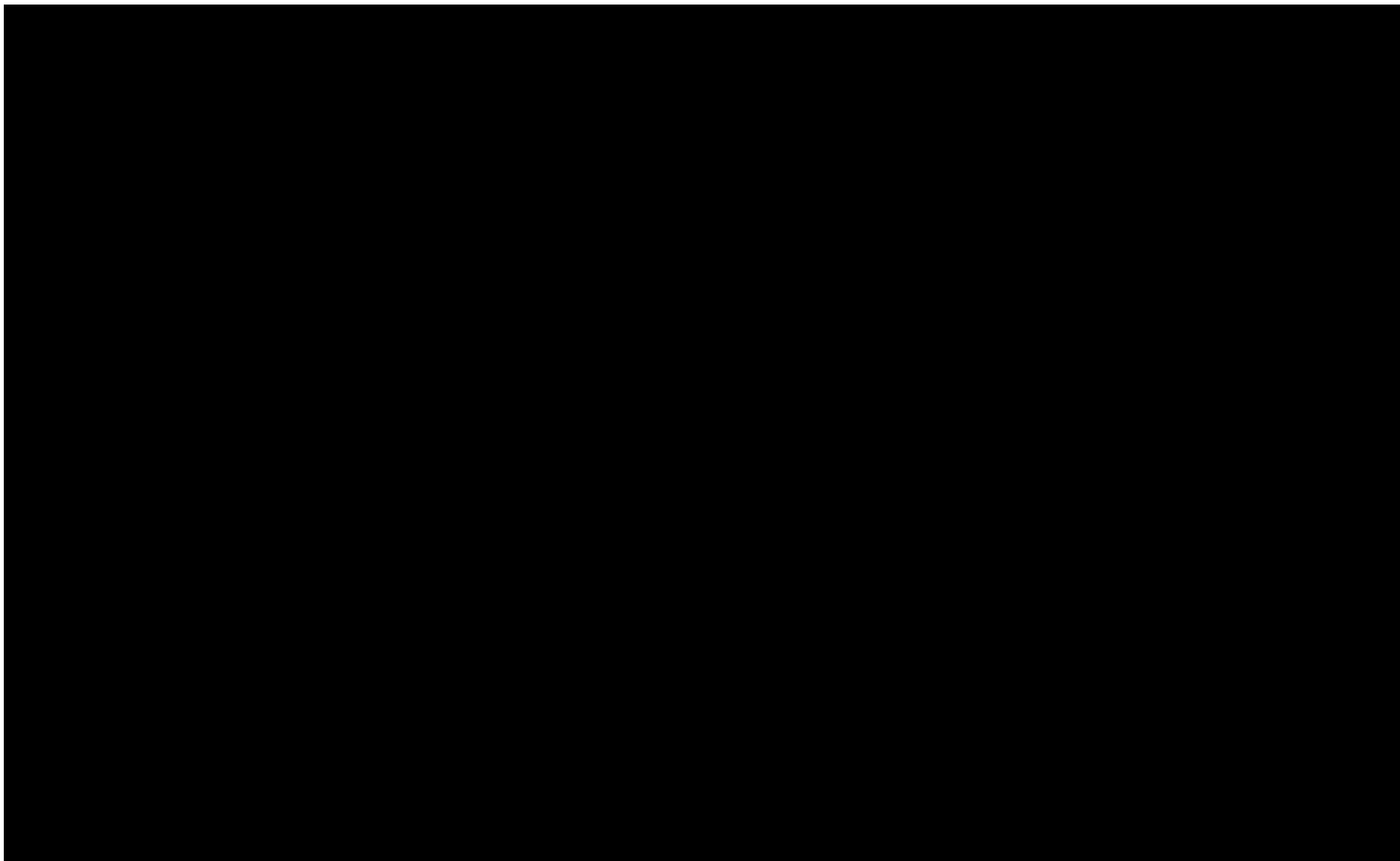
The image is entirely black and contains no visible content.

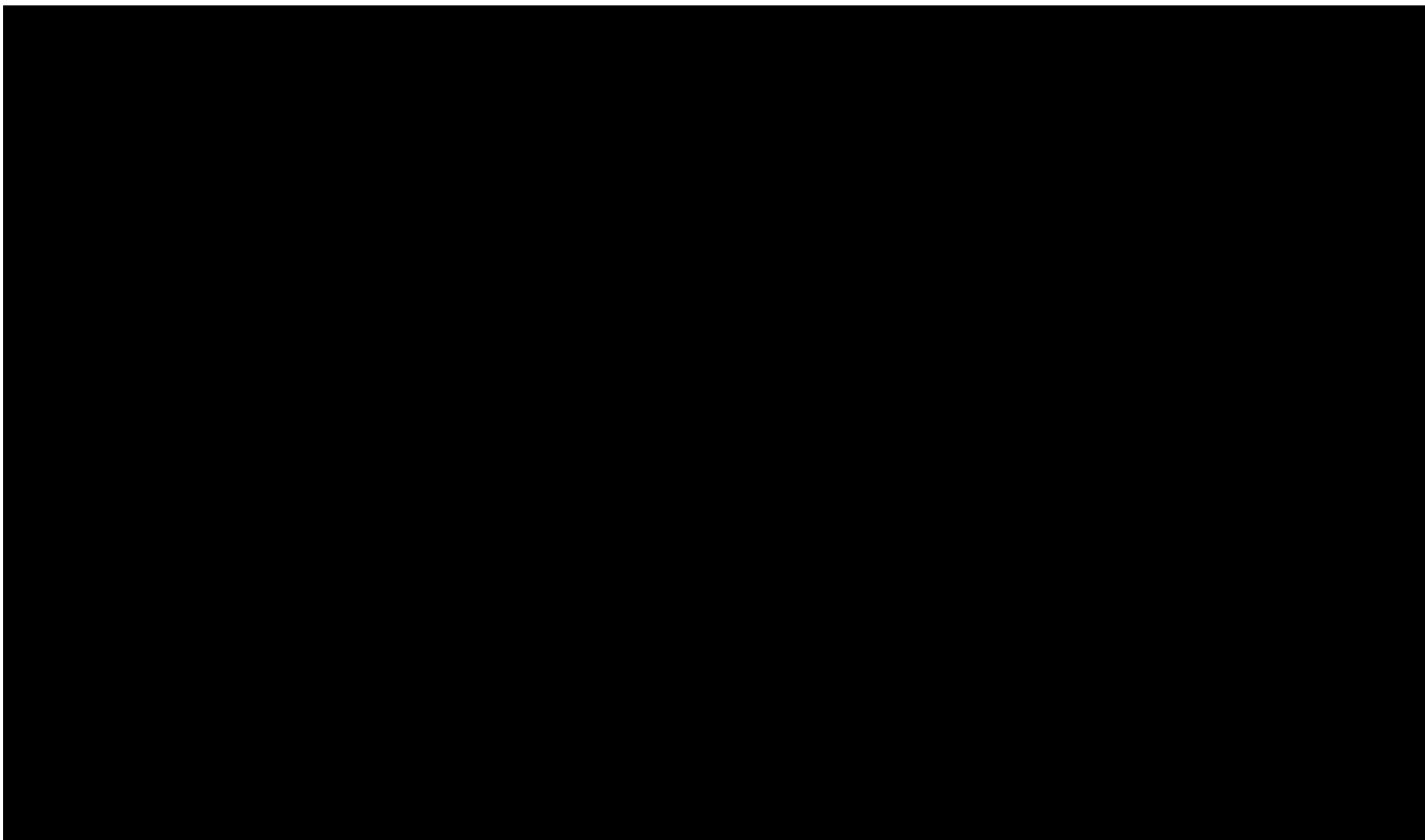
Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

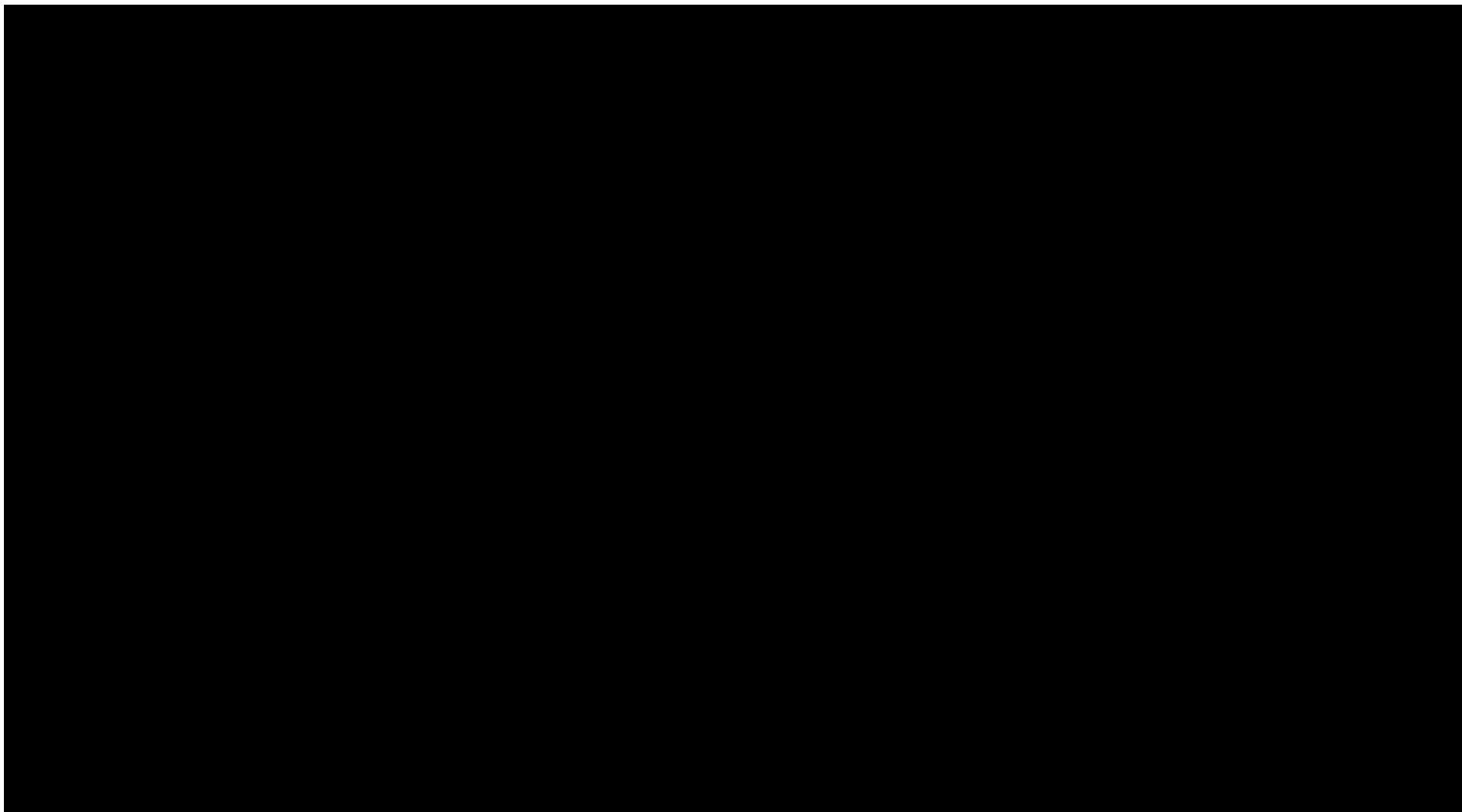
Tabela 16.
Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet

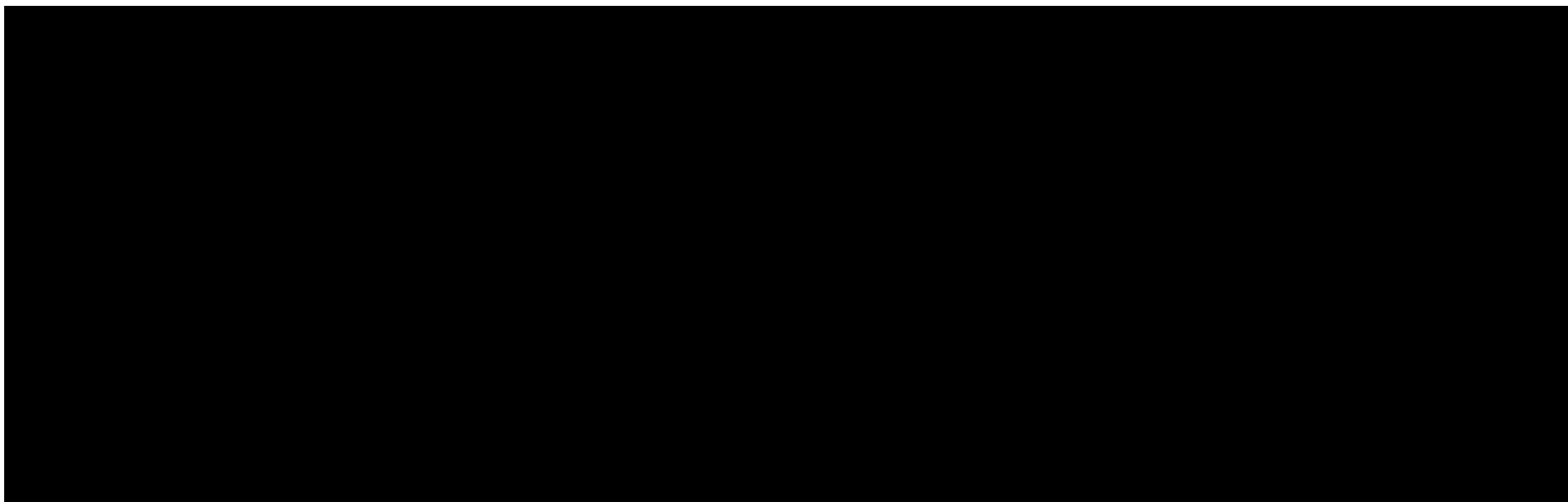












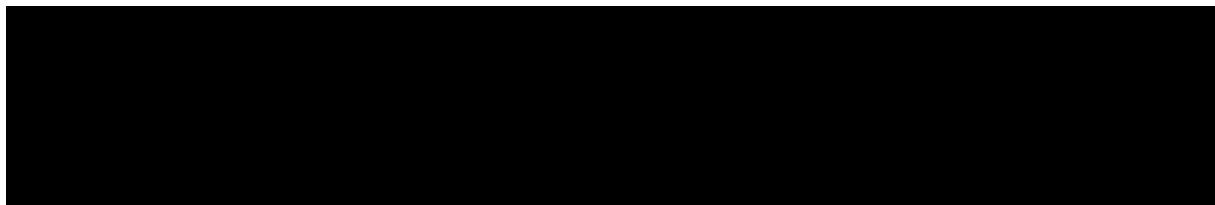
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowana wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenia jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego (wynikające z kosztów różniących oceniane technologie medyczne). Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano biorąc pod uwagę populację docelową oszacowaną w rozdziale 2.5.2. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Przyjęto, że chorzy mogą rozpocząć leczenie w dowolnym miesiącu bieżącego roku. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 17.
Aktualne wydatki budżetowe



Obecnie deksametazon nie jest refundowany w analizowanej populacji chorych. Koszt leku jest zatem zerowy.

2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

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

3. Analiza wrażliwości

Parametry uwzględnione w analizie wrażliwości oraz zakres ich zmienności i źródła danych przedstawiono w Tabeli 16.

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższych tabelach.

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

W ramach analizy wrażliwości wykonano również analizę scenariuszy, w przypadku której testowano alternatywne założenia dla modelowania kosztów lub też testowano przyjmowanie alternatywnych wartości przez wiele parametrów jednocześnie.

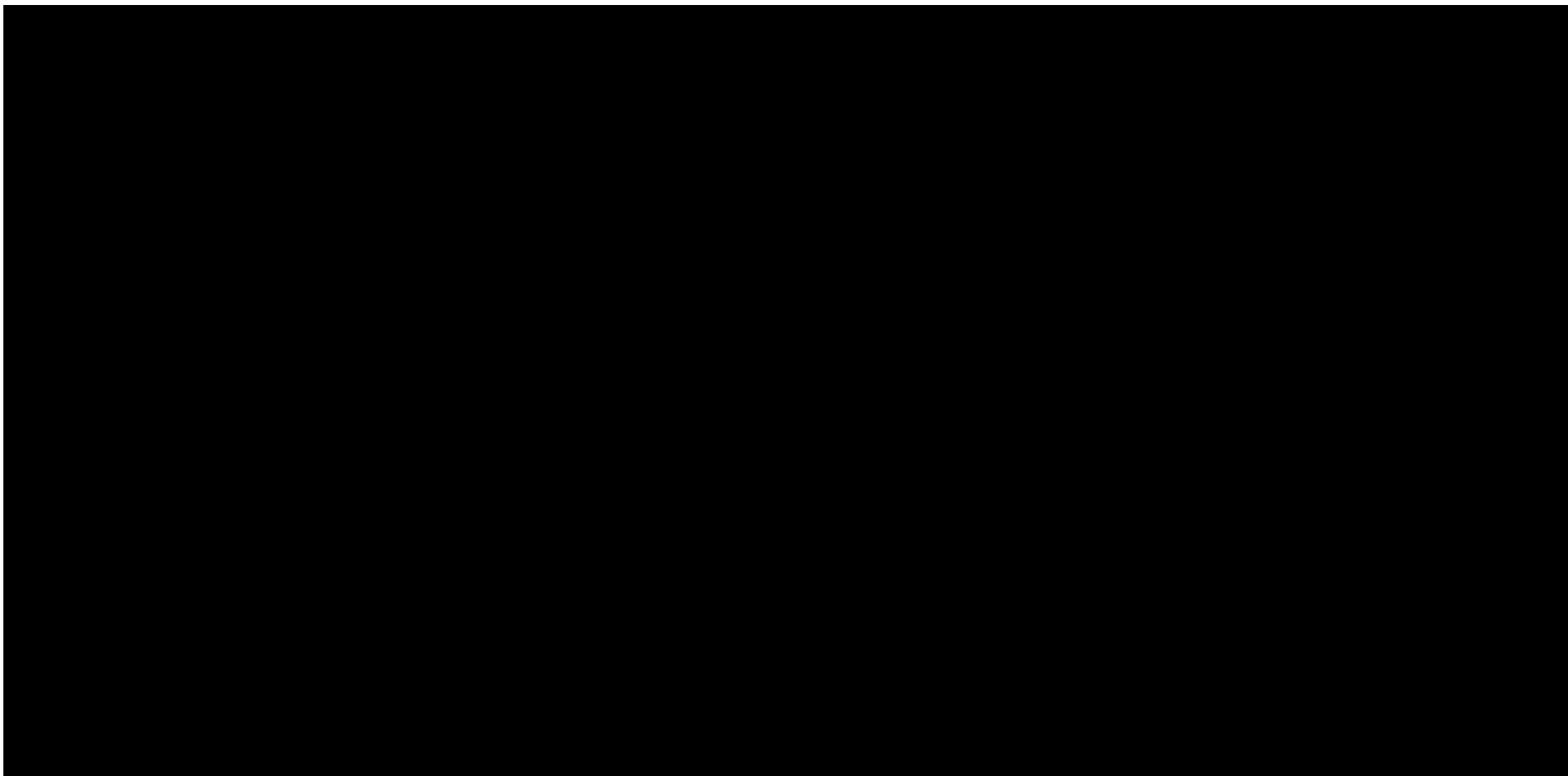
Parametry użyte w analizie wrażliwości oraz warianty testowane w analizie scenariuszy, wraz z zakresem zmienności, źródłem danych oraz uzasadnieniem zakresów zmienności, wskazano w rozdziale 2.7.

Wnioskowanie z analizy zmienia się w przypadku uwzględnienia alternatywnego kosztu podania ITA.

Wyniki analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy przedstawiono w poniższych tabelach.

Tabela 20.

Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego, w wersji z RSS



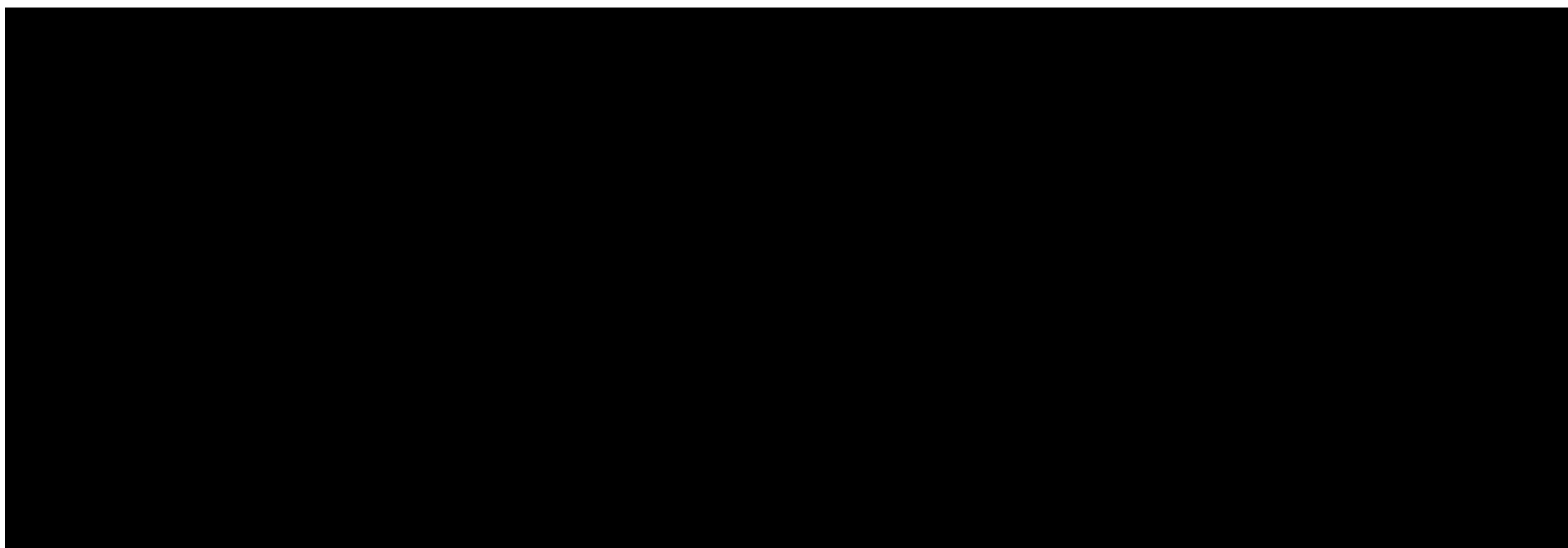
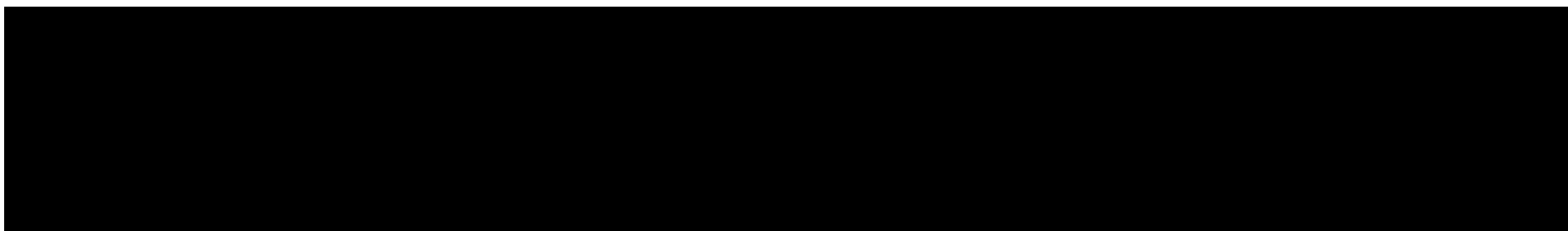
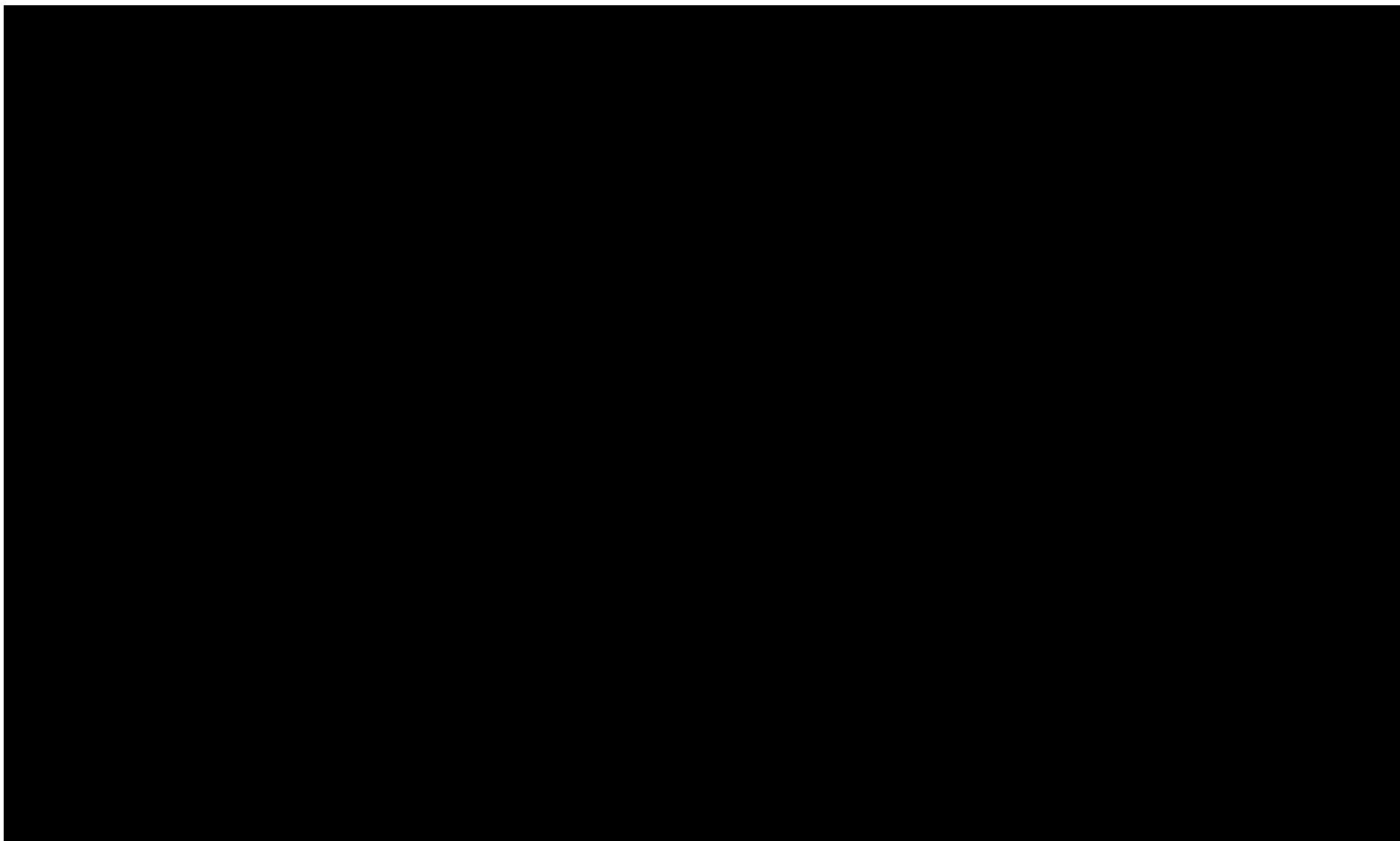
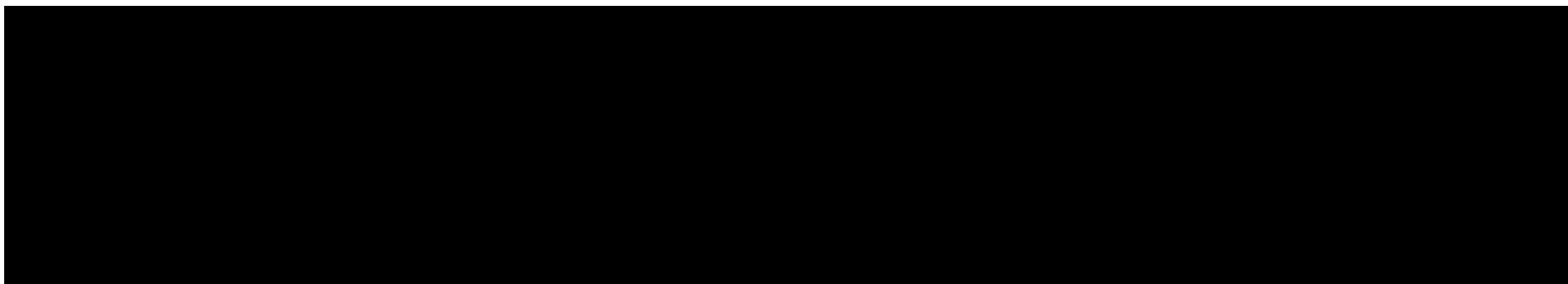
A large black rectangular box covering the entire content area of the page, indicating that the table data has been redacted.

Tabela 21.
Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego, w wersji bez RSS

A large black rectangular box covering the entire content area of the page, indicating that the table data has been redacted.





4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca refundacji produktu Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, w ramach *Programu lekowego*, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych. Ozurdex® jest już obecnie refundowany we wskazaniu DME (Program lekowy B.70) oraz we wskazaniu ZBN (Program lekowy B.105).

Lek Ozurdex® w postaci biodegradowalnego implantu może być podawany w warunkach ambulatoryjnych, w przeciwieństwie do implantów nie ulegających biodegradacji, które wymagają zabiegu chirurgicznego w sali operacyjnej.

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

5. Aspekty etyczne i społeczne

Jak podkreśla prof. Marek Rękas, Konsultant Krajowy w dziedzinie okulistyki, kierownik Kliniki Okulistyki w Wojskowym Instytucie Medycznym, obecnie istnieje potrzeba wprowadzenia nowych programów lekowych, a szczególnie rozwinięcie ich w zakresie zakrzepu żyły środkowej siatkówki, która występuje także u sporej populacji młodych pacjentów. Zgodnie z opinią Konsultanta Krajowego, nieleczony zakrzep żyły środkowej siatkówki po stu dniach prowadzi do rozwinięcia jaskry krwotocznej, której konsekwencją może być ślepota, a nawet konieczność usunięcia oka. Prof. Rękas podkreślił, że chociaż RVO jest chorobą, którą leczy się tak samo jak AMD i DME, to dostęp do terapii jest utrudniony [Janik 2024]. Od kwietnia 2025 roku w Polsce program lekowy dedykowany chorobom siatkówki rozszerzono o wskazanie RVO. Póki co dostępny w refundacji, w ramach wspomnianego programu lekowego jest jedynie jeden anty-VEGF - bewacyzumab. Oznacza to, że obecnie chorzy na RVO mają znacznie ograniczony w porównaniu do chorych z DME i nAMD, dostęp do systematycznego leczenia. **Powyższe potwierdza zatem znaczną niezaspokojoną potrzebę w populacji**

docelowej, a także wskazuje na nierówny dostęp do technologii lekowych w przypadku chorób siatkówki.

Wśród koniecznych do przeprowadzenia zmian, Konsultant Krajowy wskazał również możliwość wykonywania małych i średnich zabiegów okulistycznych w ramach AOS. Jak zaznaczył, umożliwiłoby to chorym lepszą dostępność, szybsze wykonanie procedury oraz zmniejszenie kosztów wynikających obecnie z hospitalizacji [Janik 2024].

Utrata wzroku, a także różne stopnie zaburzeń widzenia, w tym ograniczenie widzenia centralnego i/lub odpowiadające mu zakłócenie pola widzenia, są zwykle związane z ostrymi objawami wzrokowymi, które powodują znaczne obciążenie u chorych z RVO. Zmniejszająca się ostrość wzroku ma wpływ na niezależność chorego i zdolność samodzielnego dbania o siebie, wpływając na jego zdolność do monitorowania i zarządzania chorobą. Powszechnie wiadomo, że utrata wzroku ma również negatywny wpływ na fizyczne funkcjonowanie chorych, ograniczając zdolność do wykonywania codziennych czynności, utrudniając niezależne życie.

W zależności od nasilenia objawów lub utraty wzroku, chorzy mogą potrzebować pomocy opiekuna, szczególnie w czasie wizyt obejmujących doszklistkowe podanie leku oraz podczas rutynowych codziennych czynności.

Obrzęk plamki wtórny do RVO jest chorobą przewlekłą i wymaga długotrwałego leczenia [Ip 2023, Gale 2021]. Intensywny schemat iniekcji ma znaczący, negatywny wpływ na jakość życia chorych. Badanie przeprowadzone wśród chorych z RVO i DME wykazało, że chorzy odczuwają niepokój, problemy ze snem i obniżoną koncentrację [Sivaprasad 2016]. Dlatego też innowacyjne terapie, które wpłyną na zmniejszenie częstości leczenia, mogą zmniejszyć obciążenie lekowe odczuwane przez chorych z RVO.

[Redacted text block]

[REDACTED]

Podsumowując, istnieje znaczna niezaspokojona potrzeba medyczna dotycząca opracowania innowacyjnych opcji terapeutycznych, które mogą zapewnić optymalną kontrolę choroby, prowadząc do trwałej skuteczności przy mniejszej liczbie iniekcji i wizyt monitorujących. Mniejsze obciążenie leczeniem może przyczynić się do zmniejszenia obciążenia klinik okulistycznych i systemu opieki zdrowotnej.

Odpowiedzią na istniejącą niezaspokojoną potrzebę medyczną oraz oczekiwania chorych związane z rzadszymi iniekcjami jest deksametazon, będący silnie działającym kortykosteroidem wskazanym do leczenia BRVO lub CRVO.

W zakrzepie naczyń żylnych siatkówki kortykosteroidy zmniejszają ME poprzez stabilizację bariery krew-siatkówka oraz redukcję odczynu zapalnego. A dodatkowo zmniejszają napływ leukocytów do obszaru niedokrwienia, hamują odkładanie fibryny, syntezę prostaglandyn, cytokin prozapalnych a także hamują ekspresję VEGF. Podanie kortykosteroidu bezpośrednio do ciała szklistego pozwala na osiągnięcie optymalnego stężenia terapeutycznego w tkankach oka. Natomiast stosowanie biodegradowalnych implantów z deksametazonem, o przedłużonym czasie działania, umożliwia mniejszą częstość iniekcji.

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Ozurdex® w ramach *Programu lekowego*, dotyczy wyłącznie chorych spełniających wszystkie predefiniowane kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Na podstawie *Analizy klinicznej* stwierdzić można, że wnioskowana technologia jest skuteczną opcją terapeutyczną w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki. Profil bezpieczeństwa jest porównywalny jak w przypadku leczenia z wykorzystaniem triamcynolonu w postaci iniekcji do ciała szklanego. Oznacza to, że produkt Ozurdex® jest lekiem o udowodnionej skuteczności w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki.

W związku z powyższym, objęcie refundacją leku Ozurdex® umożliwi wykorzystanie technologii medycznej o udowodnionej skuteczności dla chorych, których potrzeby medyczne są w chwili obecnej niezaspokojone.

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

Poniższa tabela (Tabela 22) przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

Tabela 22.
Aspekty społeczne i etyczne

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź 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
Należy rozważyć czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
Konieczne jest też przeanalizowanie, czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	

Warunek	Wartość
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
Należy określić, czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymagania, takie jak:	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

6. Założenia i ograniczenia

Produkt leczniczy Ozurdex® ma być dostępny w ramach programu lekowego, co pozwoli na włączenie do niego dokładnie określonej populacji, która potencjalnie może osiągnąć największą korzyść z jego stosowania oraz ogranicza możliwości jego nadużywania. Program lekowy umożliwi też systematyczne monitorowanie leczenia. Ze względu na kategorię dostępności refundacyjnej lek, jak i wszystkie świadczenia realizowane w ramach programu lekowego, będą bezpłatne dla pacjenta.

Liczebność populacji docelowej oraz udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatorów w poszczególnych scenariuszach analizy określono na podstawie: danych z bazy SWIAD [AOTMiT 2024], *raportu AOTMiT 2024*, *Badania ankietowanego oraz Sprawozdań NFZ*.

W scenariuszu istniejącym założono, iż jedyną dostępną terapią steroidową podawaną do oka jest triamcynolon podawany w formie iniekcji do ciała szklistego. Założono, iż pojawienie się na rynku implantu deksametazonu 700 µg w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, zastąpi doszkliskowe wstrzyknięcia triamcynolonu.

[Redacted text block]

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach istniejącej grupy limitowej 1161.1, *Deksametazon w postaci implantów do ciała szklistego*, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Podstawę limitu w tej grupie limitowej stanowić będzie lek Ozurdex®, który jest obecnie podstawą limitu. Podejście takie jest zgodne z zapisami *Ustawy o refundacji*.

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu leku Ozurdex® (deksametazon) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności *lek stosowany w ramach programu lekowego*.

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

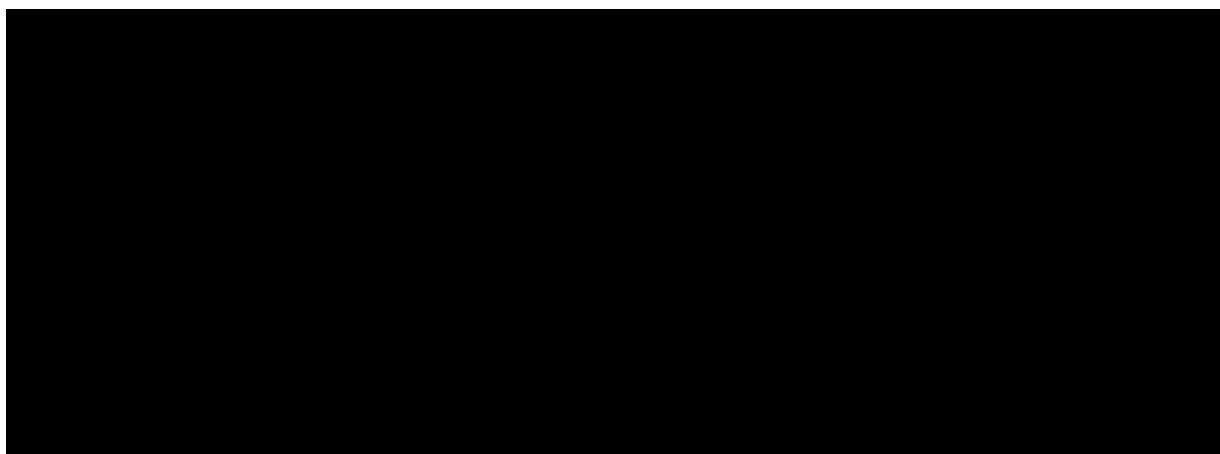
[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wydatki inkrementalne

Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS



Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku analizy	Wartość inkrementalna w 2. roku analizy
Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)		
Minimalny	2 088 962,70	2 787 093,77
Prawdopodobny	2 231 360,20	2 871 093,37
Maksymalny	2 426 296,21	2 986 085,18
[REDACTED]		
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Finansowanie DEX przyczyni się do zwiększenia spektrum terapeutycznego w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki i tym samym umożliwi specjalistom w tej dziedzinie wybór terapii najkorzystniejszej dla określonego chorego.

Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy komparatora (acetonid triamcynolonu) nie może zostać uznane za satysfakcjonujące z uwagi na to, iż: ITA finansowany wyłącznie w ramach procedury JGP B84, jest opcją stosowaną poza wskazaniem rejestracyjnym, a dodatkowo produkty lecznicze zawierające tę substancję czynną muszą być sprowadzane do Polski w ramach importu docelowego, wymaga częstszego podania niż DEX ze względu na krótkotrwałe działanie. Implant DEX jest skuteczny w leczeniu dorosłych chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki, a łatwość podania i korzystny profil ryzyka uzasadnia wybór tej terapii u chorych ze wskazaniem określonym we wniosku. Niezwykle ważnym aspektem jest wydłużenie odstępów między wizytami i podaniami leku, ponieważ lek jest skuteczny do 6 miesięcy od wstrzyknięcia implantu. Ze względu na ograniczoną rozpuszczalność triamcynolonu, pożądane stężenie tego leku w ciele szklistym utrzymuje się krócej, tj. przez około 3-4 miesiące po pojedynczym wstrzyknięciu.

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie finansowania wnioskowanej technologii w ramach istniejącej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* należy stwierdzić, że lek Ozurdex® jest obecnie refundowany w grupie limitowej 1161.1, *Deksametazon w postaci implantów do ciała szklistego*.

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

Tabela 23.

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

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.1
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.5
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
2.1.	aktualnych	TAK, rozdział 2.8.1.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.8.1.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.2.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 6.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 6.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach - z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), - bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	TAK
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: - w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej) - w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)	TAK, rozdział 8.1.

Źródło: opracowanie własne na podstawie *Rozporządzenia MZ w sprawie minimalnych wymagań*

9. Spis tabel

Tabela 1. Liczba chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki – oszacowanie na podstawie danych epidemiologicznych	16
Tabela 2. Liczba chorych z obrzękiem płamki wtórnym do niedrożności żył siatkówki – oszacowanie na podstawie danych z Raportu AOTMiT 2022	17
Tabela 3. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	17
Tabela 4. Liczebność populacji (unikalne numery id) wnioskowanej wg danych NFZ – liczba dorosłych pacjentów z rozpoznaniem głównym i/lub współistniejącym ICD-10: H34 (baza SWIAD).....	18
Tabela 5. Liczba chorych kwalifikujących się do leczenia w programie lekowym we wskazaniu RVO.....	19
Tabela 6. Liczba chorych z niepowodzeniem terapii anty-VEGF, którzy kwalifikują się do terapii steroidowej oraz liczba chorych, którzy nie mogą zastosować terapii anty-VEGF jako I linii leczenia.....	20
Tabela 7. Liczba chorych z populacji docelowej	20
Tabela 8. Populacja docelowa, wskazana we wniosku	21
Tabela 9. Struktura rynku w scenariuszu istniejącym	23
Tabela 10. Struktura rynku w scenariuszu nowym.....	23
Tabela 11. Liczebność chorych, u których technologia wnioskowana będzie zastosowana	23
Tabela 12. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....	24
Tabela 13. Charakterystyka kosztowa preparatu Ozurdex® (PLN).....	25
Tabela 14. Koszty stosowania porównywanych technologii z uwzględnieniem RSS w przeliczeniu na cykl modelu (PLN)	26
Tabela 15. Koszty stosowania porównywanych technologii bez uwzględnienia RSS w przeliczeniu na cykl modelu (PLN)	27
Tabela 16. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	28
Tabela 17. Aktualne wydatki budżetowe.....	34
Tabela 18. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS	35
Tabela 19. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS	35

Tabela 20. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego, w wersji z RSS	37
Tabela 21. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego, w wersji bez RSS	38
Tabela 22. Aspekty społeczne i etyczne	44
Tabela 23. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	48

10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet	14
--	----

11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Analiza ekonomiczna	<i>Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki. Analiza ekonomiczna</i> , MAHTA 2025
Analiza kliniczna	<i>Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki.. Analiza kliniczna</i> , MAHTA 2025
Analiza problemu decyzyjnego	<i>Ozurdex® (deksametazon) w leczeniu obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki.. Analiza problemu decyzyjnego</i> , MAHTA 2025
AOTMiT 2024	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Opracowanie dotyczące oceny zasadności rozszerzenia programu lekowego B.70 „Leczenie pacjentów z chorobami siatkówki (ICD-10: H35.3, H36.0)” o zapisy dotyczące leczenia zakrzepu żyły i gałęzi żyły środkowej siatkówki bewacyzumabem oraz oceny zasadności objęcia refundacją bewacyzumabu w przedmiotowym wskazaniu pozarejestacyjnym, OT.422.1.64.2024
AWA Ozurdex 2016	AOTMiT, Analiza weryfikacyjna do wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Ozurdex (deksametazon) w ramach programu lekowego: „Leczenie zaburzeń widzenia spowodowanych cukrzycowym obrzękiem płamki (DME) (ICD-10 H 35.8)”, Nr. OT.4351.23.2016, 2016
Badanie ankietowane	Epidemiologia i leczenie obrzęku płamki wtórnego do niedrożności żył siatkówki – badanie ankietowe
ChPL Ozurdex®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Ozurdex®
Dane dostarczone przez Wnioskodawcę	Dane otrzymane przez Zamawiającego w zakresie ceny zbytu netto wnioskowanej technologii lekowej oraz instrumentu dzielenia ryzyka (RSS)
Dane GUS	Prognoza GUS na rok 2024, Główny Urząd Statystyczny / Obszary tematyczne / Ludność / Prognoza ludności / Prognoza ludności na lata 2023-2060
Gale 2021	Gale R., Gill C., Pikoula M., I in., Multicentre study of 4626 patients assesses the effectiveness, safety and burden of two categories of treatments for central retinal vein occlusion: intravitreal anti-vascular endothelial growth factor injections and intravitreal Ozurdex injections. Br J Ophthalmol. 2021 Nov;105(11):1571-1576
Ip 2023	Ip M., Fekrat S., Modi Y., i in., Treatment Patterns and Outcomes With Anti-VEGF Therapy for BRVO and CRVO: An Analysis of the Vestrum Database, 2023
Janik 2024	Janik J., Okulistyka wymaga dalszych zmian. Nowe schorzenia do programów lekowych, https://www.termedia.pl/mz/Okulistyka-wymaga-dalszych-zmian-Nowe-schorzenia-do-programow-lekowych.57538.html , Termedia 2024 (data dostępu: 30.03.2025 r.)
PTO 2014	Polskie Towarzystwo Okulistyczne, Wytoczne leczenie obrzęku płamki wtórnego do niedrożności naczyń żylnych siatkówki, 2014
Raport AOTMiT 2022	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Iniekcja doszkliskowa (ICD-9: 14.76) – świadczenie opieki zdrowotnej polegające na podaniu leków do ciała szklistego w ramach procedury iniekcji doszkliskowej jako świadczenie gwarantowane z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, Raport w sprawie oceny świadczenia opieki zdrowotnej, 2022

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2021 r. zmieniające rozporządzenie w sprawie priorytetów zdrowotnych
Sivaprasad 2016	Sivaprasad S, Oyetunde S., Impact of injection therapy on retinal patients with diabetic macular edema or retinal vein occlusion. Clin Ophthalmol. 2016 May 24;10:939-46
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.)
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Wykaz leków refundowanych	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 19 marca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016
Zarządzenie ambulatoryjna opieka specjalistyczna	Zarządzenie Nr 132/2024/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 31 grudnia 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna
Zarządzenie leczenie szpitalne	Zarządzenie nr 32/2025/DSOZ Prezesa NFZ z dnia 30 kwietnia 2025 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne – świadczenia wysokospecjalistyczne z późn. zmianami
Zarządzenie programy lekowe	Zarządzenie Nr 29/2025/DGL Prezesa NFZ z dnia 24 kwietnia 2025 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe z późn. zmianami