



IGNORANTIA NOCET

## Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych wskazany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni 5q

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.1

Wykonawca:  
MAHTA sp. z o. o.  
ul. Modra 90/111  
02-661 Warszawa  
Tel. biuro: +48 533 399 146  
E-mail: [biuro@mahta.pl](mailto:biuro@mahta.pl)

Przygotowano dla:  
Roche Polska Sp. z o.o.

Warszawa, 18.07.2025 r.

Osoby do kontaktu:

### **Cezary Prusko**

tel.: +48 602 10 44 55  
[cezary.prusko@mahta.pl](mailto:cezary.prusko@mahta.pl)

### **Michał Jachimowicz**

tel.: +48 608 555 595  
[michal.jachimowicz@mahta.pl](mailto: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

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

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

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

---

## Spis treści

|                                                                                                                                                                      |           |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Indeks skrótów .....</b>                                                                                                                                          | <b>5</b>  |
| <b>Streszczenie .....</b>                                                                                                                                            | <b>6</b>  |
| <b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia .....</b>                                                                                                         | <b>14</b> |
| <b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>                                                                                                                              | <b>15</b> |
| 2.1. Metodyka analizy .....                                                                                                                                          | 15        |
| 2.2. Horyzont czasowy .....                                                                                                                                          | 16        |
| 2.3. Perspektywa .....                                                                                                                                               | 16        |
| 2.4. Scenariusze porównywane .....                                                                                                                                   | 17        |
| 2.5. Populacja .....                                                                                                                                                 | 18        |
| 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana.....                                                       | 18        |
| 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....                                                                                                                 | 25        |
| 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....                                                                                      | 25        |
| 2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.....     | 26        |
| 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją..... | 29        |
| 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach .....                                                                   | 29        |
| 2.6. Analiza kosztów .....                                                                                                                                           | 30        |

---

---

|                                                                                                                                  |           |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz komparatora .....                                                | 31        |
| 2.6.2. Pozostałe kategorie kosztowe .....                                                                                        | 34        |
| 2.6.3. Modelowanie kosztów .....                                                                                                 | 34        |
| 2.6.4. Podsumowanie kosztów .....                                                                                                | 37        |
| 2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....                                                                                        | 39        |
| 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....                                                                                 | 46        |
| 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe .....                                                                                          | 46        |
| 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....                                                                                      | 46        |
| <b>3. Analiza wrażliwości .....</b>                                                                                              | <b>48</b> |
| <b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>                                                                         | <b>53</b> |
| <b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>                                                                                      | <b>54</b> |
| <b>6. Ograniczenia.....</b>                                                                                                      | <b>59</b> |
| <b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>                                                                                   | <b>60</b> |
| <b>8. Załączniki .....</b>                                                                                                       | <b>63</b> |
| 8.1. Uzasadnienie finansowania technologii wnioskowanej w ramach istniejącej grupy<br>limitowej .....                            | 63        |
| 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w<br>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań..... | 63        |
| <b>9. Spis tabel .....</b>                                                                                                       | <b>66</b> |
| <b>10. Spis rysunków .....</b>                                                                                                   | <b>69</b> |
| <b>11. Bibliografia.....</b>                                                                                                     | <b>70</b> |

---

## Indeks skrótów

| Skrót        | Rozwinięcie                                                                                                                                                            |
|--------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| 5q           | ang. <i>long arm of chromosome 5</i> – ramię długie chromosomu 5                                                                                                       |
| AOTMIT       | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji                                                                                                                     |
| CHB          | Cena hurtowa brutto                                                                                                                                                    |
| ChPL         | Charakterystyka Produktu Leczniczego                                                                                                                                   |
| CZN          | Cena zbytu netto                                                                                                                                                       |
| DDD          | ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku                                                                                                                     |
| DGL          | Departament Gospodarki Lekami                                                                                                                                          |
| EPAR         | ang. <i>European Public Assessment Report</i> – Raport EMA                                                                                                             |
| FM           | Fundusz Medyczny                                                                                                                                                       |
| GTIN         | ang. <i>Global Trade Item Number</i> – Globalny Numer Jednostki Handlowej                                                                                              |
| HRQoL        | ang. <i>Health-Related Quality of Life</i> – badania dotyczące jakości życia związanej ze zdrowiem                                                                     |
| ICD-10       | ang. <i>International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems</i> – Międzynarodowa Statystyczna Klasyfikacja Chorób i Problemów Zdrowotnych |
| m.c.         | masa ciała                                                                                                                                                             |
| mg           | miligram                                                                                                                                                               |
| mRNA         | ang. <i>messenger ribonucleic acid</i> – matrycowy kwas rybonukleinowy                                                                                                 |
| MZ           | Minister Zdrowia                                                                                                                                                       |
| n/d          | nie dotyczy                                                                                                                                                            |
| NFZ          | Narodowy Fundusz Zdrowia                                                                                                                                               |
| PLN          | polski złoty                                                                                                                                                           |
| RSS          | ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka                                                                                                              |
| RYS          | rysdyplam                                                                                                                                                              |
| SMA          | ang. <i>spinal muscular atrophy</i> – rdzeniowy zanik mięśni                                                                                                           |
| SMN (białko) | ang. <i>Survival of Motor Neuron protein</i> – białko przeżycia neuronów ruchowych                                                                                     |
| SMN1         | ang. <i>the telomeric copy of the gene encoding the SMN protein</i> – kopia telomerowa genu SMN                                                                        |
| SMN2         | ang. <i>the centromeric copy of the gene encoding the SMN protein</i> – kopia centromerowa genu SMN                                                                    |
| VAT          | ang. <i>value-added tax</i> – podatek od wartości dodanej                                                                                                              |
| WHO          | ang. <i>World Health Organization</i> – Światowa Organizacja Zdrowia                                                                                                   |
| ZG           | zgłębnik gastrostomijny                                                                                                                                                |
| ZN-Ż         | zgłębnik nosowo-żołądkowy                                                                                                                                              |

---

## 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 Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych w leczeniu chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg.

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

### METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią chorzy z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg.

Rdzeniowy zanik mięśni to rzadka, uwarunkowana genetycznie choroba neurodegeneracyjna o przebiegu postępującym. W przebiegu SMA dochodzi do stopniowej degeneracji neuronów ruchowych w rogach przednich rdzenia kręgowego oraz w jądrach ruchowych dolnej części pnia mózgu. Bezpośrednią przyczyną choroby jest homozygotyczna utrata funkcji genu SMN1, który odpowiada za produkcję białka SMN – kluczowego dla przeżycia i prawidłowego działania neuronów ruchowych. W organizmie występuje również podobny gen – SMN2 – który może częściowo kompensować niedobór białka SMN. Jednak na skutek różnic w przetwarzaniu jego transkryptu, większość cząsteczek SMN powstałych z genu SMN2 jest niepełna i pozbawiona funkcji biologicznej, ponieważ w procesie alternatywnego składania RNA (splicingu) pomijany jest istotny fragment – ekson 7. Skutkuje to postępującą hipotonią, osłabieniem i zanikiem mięśni szkieletowych, co ogranicza zdolność do wykonywania podstawowych czynności życiowych. Najcięższe postacie choroby prowadzą do niewydolności oddechowej, zaburzeń połykania oraz braku możliwości samodzielnego poruszania się [Keinath 2021].

Coraz częściej zwraca się uwagę na **wielonarządowy charakter SMA**. Choć klasyfikowana jest jako choroba neuronów ruchowych, ekspresja białka SMN zachodzi również w innych

---

tkankach. U chorych – zwłaszcza z cięższymi fenotypami – opisywano wady serca, zaburzenia rytmu, zaburzenia czynności nerek, trzustki i układu odpornościowego. Wydłużenie przeżycia dzięki leczeniu może wiązać się z większym znaczeniem objawów pozaruchowych w dalszym przebiegu choroby [Keinath 2021].

Jak podkreślono w licznych publikacjach, SMA jest chorobą **upośledzającą sprawność fizyczną, prowadzącą do niewydolności oddechowej i zagrażającą życiu chorego** [Keinath 2021, Gierlak-Wójcicka 2018, Majchrzak-Celińska 2020, Messina 2020, Szczerba 2018, Włodarczyk 2019]. Postępujące osłabienie mięśni w sposób znamieny wpływa na życie zarówno chorych, jak i ich opiekunów, stanowiąc znaczne obciążenie społeczno-ekonomiczne. Chorzy często wymagają intensywnej opieki medycznej i pielęgnacyjnej, a także dostosowania otoczenia i stałego wsparcia w wykonywaniu codziennych czynności [Yao 2021]. Badania dotyczące jakości życia związanej ze zdrowiem (HRQoL) wykazały **silne pogorszenie jakości życia chorych oraz opiekunów chorych na SMA w stosunku do populacji ogólnej**. Dotyczy to w szczególności aspektów związanych z niezależnością funkcjonalną, mobilnością, integracją społeczną oraz dobrostanem psychicznym [Callan 2018\_ab].

Z uwagi na ciężki, postępujący przebieg choroby oraz jej wielowymiarowy wpływ na funkcjonowanie chorych i ich rodzin, szczególnego znaczenia nabiera wczesne wdrożenie skutecznego leczenia modyfikującego przebieg SMA. Jedną z dostępnych opcji terapeutycznych o udokumentowanej skuteczności i korzystnym profilu bezpieczeństwa jest rysdyplam – doustny, systemowo działający modulator *splicingu*, którego mechanizm opiera się na zwiększaniu produkcji funkcjonalnego białka SMN z genu SMN2 [ChPL Evrysdi®].

Rysdyplam wiąże się z pre-mRNA SMN2 i stabilizuje jego składanie, co prowadzi do zwiększenia liczby transkryptów zawierających ekson 7. W rezultacie dochodzi do wzrostu poziomu pełnowartościowego białka SMN, którego niedobór jest bezpośrednią przyczyną neurodegeneracji obserwowanej w SMA. Zwiększenie dostępności białka SMN występuje zarówno w ośrodkowym układzie nerwowym, jak i w tkankach obwodowych, co może mieć znaczenie dla ograniczenia pozaruchowych objawów choroby oraz wpływu układowego [EPAR 2025].

Skuteczność rysdyplamu została potwierdzona w wieloośrodkowych badaniach klinicznych obejmujących szerokie spektrum populacji chorych z SMA – od niemowląt po osoby dorosłe, zarówno z typem 1, jak i 2 oraz 3 choroby. Wykazano istotne klinicznie korzyści w zakresie

poprawy lub stabilizacji funkcji motorycznych, zwiększenia przeżywalności wolnej od trwałej wentylacji mechanicznej oraz utrzymania dotychczasowych umiejętności ruchowych. Efekty terapeutyczne były obserwowane również u chorych wcześniej nieleczonych oraz u osób, które utraciły zdolność samodzielnego chodzenia [EPAR 2025].

Rysdyplam jest lekiem podawanym doustnie. Może być podawany w warunkach domowych, a więc redukuje obciążenia organizacyjne związane z leczeniem. Ogólnoustrojowe działanie leku pozwala na utrzymanie stabilnych stężeń terapeutycznych w tkankach, przy jednoczesnym ograniczeniu ryzyka związanego z bardziej inwazyjnymi drogami podania [EPAR 2025].

Obecnie rysdyplam jest refundowany w postaci proszku do przygotowywania roztworu doustnego. Forma ta została opracowana z myślą o chorych, którzy nie są w stanie połknąć tabletki, w szczególności o niemowlętach, małych dzieciach oraz osobach z zaburzeniami połykania. Roztwór doustny może być łatwo podawany za pomocą strzykawki doustnej, co umożliwia dostosowanie objętości dawki do masy ciała chorego. Wymaga on jednak przygotowania przez farmaceutę i przechowywania w warunkach chłodniczych (2–8°C) przez maksymalnie 64 dni od momentu sporządzenia, zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego [ChPL Evrysdi®].

Dzięki możliwości indywidualnego dostosowania dawki do masy ciała chorego oraz podania leku w formie płynnej, aktualnie refundowana postać roztworu doustnego stanowi odpowiednie rozwiązanie terapeutyczne dla najmłodszych chorych, u których wymagane jest przeliczenie dawki w odniesieniu do masy ciała (mg/kg), a także dla tych, u których występują istotne trudności w połykaniu. U chorych, którzy mają założoną sondę nosowo-żołądkową lub gastrostomijną, roztwór rysdyplamu może być podawany bezpośrednio przez sondę. Stabilność farmaceutyczna roztworu przez okres 64 dni oraz przejrzyste zasady dawkowania pozwalają na bezpieczne i przewidywalne stosowanie leku w warunkach domowych, przy wsparciu opiekunów. Jednocześnie, potrzeba przechowywania roztworu w warunkach chłodniczych i przygotowania roztworu przez farmaceutę sprawia, że forma ta może nie być optymalna dla wszystkich chorych – w szczególności tych, którzy osiągnęli wiek oraz masę ciała kwalifikujące ich do stosowania tabletek i u których możliwe jest bezpieczne przyjęcie stałej postaci doustnej [ChPL Evrysdi®].

Dla tej grupy chorych rysdyplam w postaci tabletek powlekanych stanowi alternatywną formę leczenia, umożliwiającą uproszczenie schematu terapeutycznego bez kompromisu w zakresie



skuteczności czy bezpieczeństwa. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, tabletki mogą być stosowane u chorych w wieku co najmniej 2 lat i o masie ciała  $\geq 20$  kg. Lek może być przyjęty doustnie poprzez połknięcie tabletki w całości lub po jej rozpuszczeniu w niewielkiej objętości wody (ok. 5 ml), bez konieczności użycia dodatkowych przyrządów do jego podania [ChPL Evrysdi®].

Każda tabletki zawiera określoną dawkę dobową rysdyplamu, co eliminuje potrzebę odmierzania objętości płynu i może zmniejszać ryzyko błędów dawkowania. W codziennej praktyce klinicznej rozwiązanie to może stanowić istotne ułatwienie zarówno dla chorych, jak i ich opiekunów. Ponadto tabletki mogą być przechowywane w temperaturze pokojowej ( $20^{\circ}\text{C}$ – $25^{\circ}\text{C}$ ), co zwiększa wygodę leczenia, szczególnie u osób aktywnych zawodowo, uczęszczających do placówek edukacyjnych lub podróżujących. Możliwość przechowywania w temperaturze pokojowej oraz uproszczony sposób podania ułatwiają prowadzenie terapii w warunkach domowych i jej dostosowanie do codziennego funkcjonowania chorego [ChPL Evrysdi®].

Uwzględnienie tej postaci farmaceutycznej w praktyce terapeutycznej może stanowić istotne uzupełnienie obecnych możliwości leczenia, szczególnie w kontekście zróżnicowanych potrzeb klinicznych i funkcjonalnych chorych na SMA [ChPL Evrysdi®].



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

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której rysdyplam w postaci tabletek powlekanych nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, w leczeniu populacji docelowej w ramach *Programu lekowego B.102.FM* stosowany jest rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której rysdyplam w postaci tabletek powlekanych stosowany w leczeniu chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2

lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg, będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej.

Całkowite koszty (wynikające z kosztów różniących leczenia) zostały ujęte w ramach następujących kategorii kosztowych:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty wydania leków.

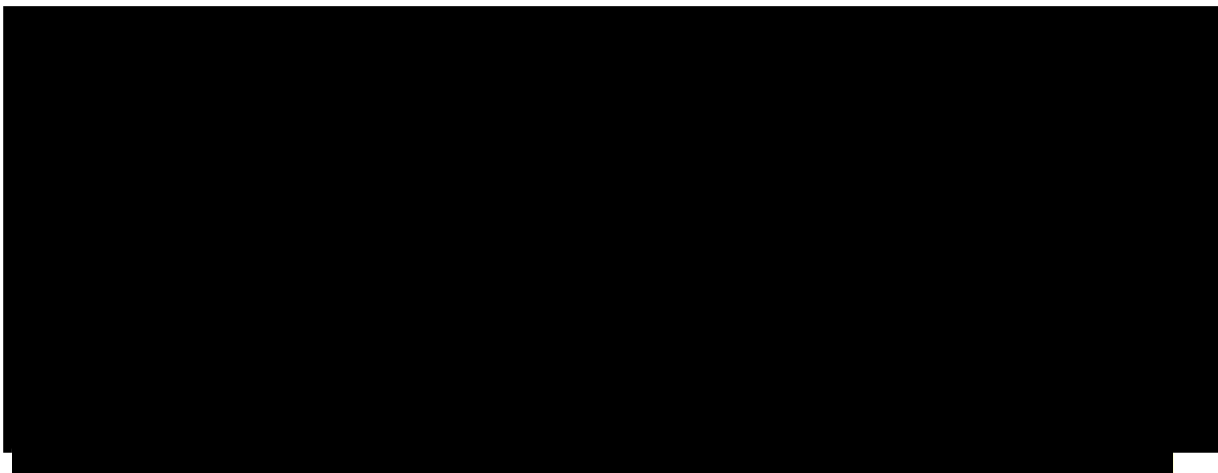
Kategorie te są tożsame z kategoriami kosztowymi analizowanymi w *Analizie ekonomicznej*, która stanowi integralną część raportu oceny technologii medycznej.

W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Wnioskodawcę umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w wariantcie uwzględniającym i nieuwzględniającym proponowaną umowę podziału ryzyka.

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Należy zaznaczyć, że wyniki z perspektywy wspólnej są tożsame z wynikami z perspektywy płatnika publicznego, dlatego wyniki przedstawione w analizie są odpowiednie dla obu perspektyw. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

## WYNIKI

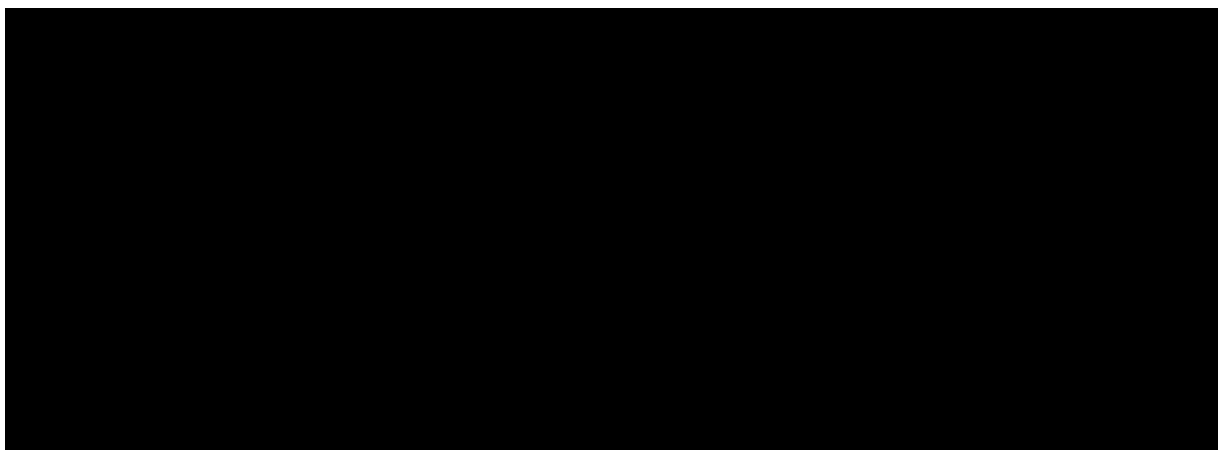
### Oszacowanie populacji



### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego



### Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS



### Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS

| Wariant populacji                         | Wartość inkrementalna w 1. roku analizy | Wartość inkrementalna w 2. roku analizy |
|-------------------------------------------|-----------------------------------------|-----------------------------------------|
| <b>Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)</b> |                                         |                                         |
| Minimalny                                 | -8 466 958,69                           | -11 931 619,31                          |
| Prawdopodobny                             | -10 304 620,03                          | -15 594 570,73                          |
| Maksymalny                                | -12 142 281,37                          | -19 257 522,15                          |

| Wariant populacji | Wartość inkrementalna w 1. roku analizy | Wartość inkrementalna w 2. roku analizy |
|-------------------|-----------------------------------------|-----------------------------------------|
|                   |                                         |                                         |

Wyniki z perspektywy wspólnej są tożsame z wynikami z perspektywy płatnika publicznego.

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



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



## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych (Evrysdi®) do finansowania w ramach *Programu lekowego B.102.FM*.

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych będzie udostępnienie chorym z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg, nowej opcji terapeutycznej. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować leczenie przy pomocy leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego teraz będą mogli również zastosować terapię lekiem Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji finansowanie leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych wpłynie na poprawę jakości życia chorych w analizowanym wskazaniu. [REDACTED]

Przy uwzględnieniu perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjentów, wnioski z analizy nie ulegają zmianie.

[REDACTED]

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).

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna może mieć wpływ na organizację udzielania świadczeń, zmniejszając zapotrzebowanie na planowane wizyty ambulatoryjne w celu wydania leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych względem leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych przyczyni się do poprawy diagnostyki i leczenia chorób rzadkich, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych*).

---

## 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 Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych w leczeniu chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych w przedstawionym wskazaniu.

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

---

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o *Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań, Wytyczne AOTMiT oraz Ustawę o refundacji*.
2. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego.   
  
  
  
  
  

3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
4. Oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego).
5. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości niższe od zera oznacza to oszczędności finansowe związane z

podjęciem pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.

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 stycznia 2026 do końca grudnia 2027 roku. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego B.102.FM*, 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 minimalnych wymagań*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:



- ⊕ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny<sup>1</sup>)
- ⊕ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

Należy zaznaczyć, że w niniejszej analizie wyniki z perspektywy wspólnej są tożsame z wynikami z perspektywy płatnika publicznego, dlatego wyniki przedstawione w analizie są odpowiednie dla obu perspektyw.

## 2.4. Scenariusze porównywane

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

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1.).

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

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

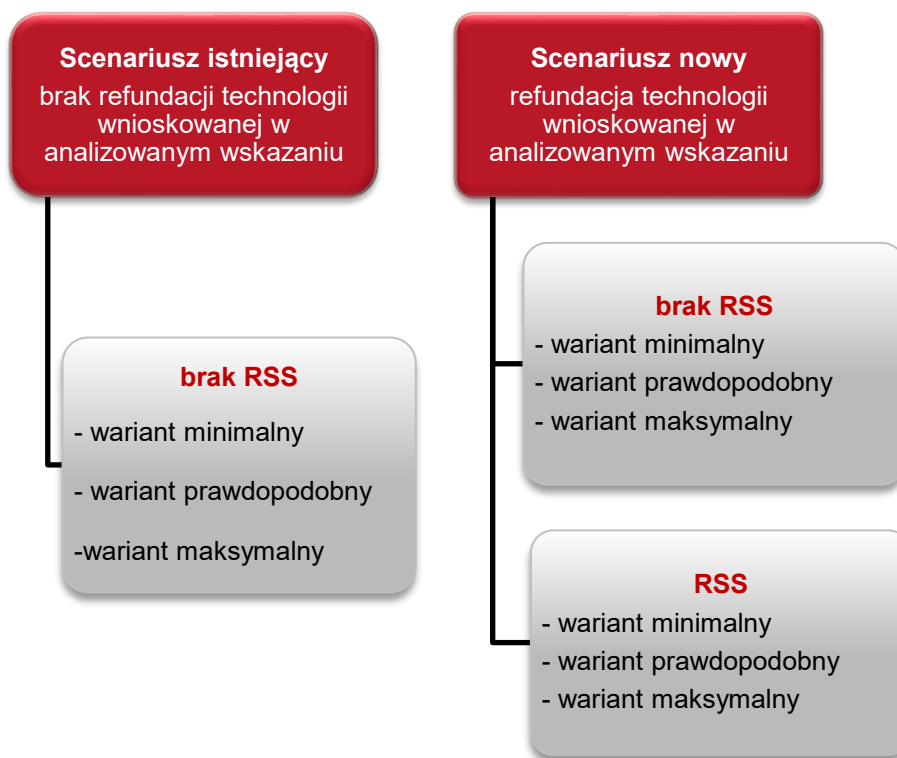
Analizowane scenariusze (istniejący, nowy), wersje (z RSS, bez RSS) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

---

<sup>1</sup> Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

**Rysunek 1.**

**Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet**



## 2.5. Populacja

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

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o ChPL wnioskowanej technologii. Zgodnie z ChPL Evrysdi®, rysdyplam w postaci tabletek powlekanych wskazany jest w leczeniu:

- ⊕ chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg.



[REDACTED]

[REDACTED]

2 [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

3 [REDACTED]

[REDACTED]

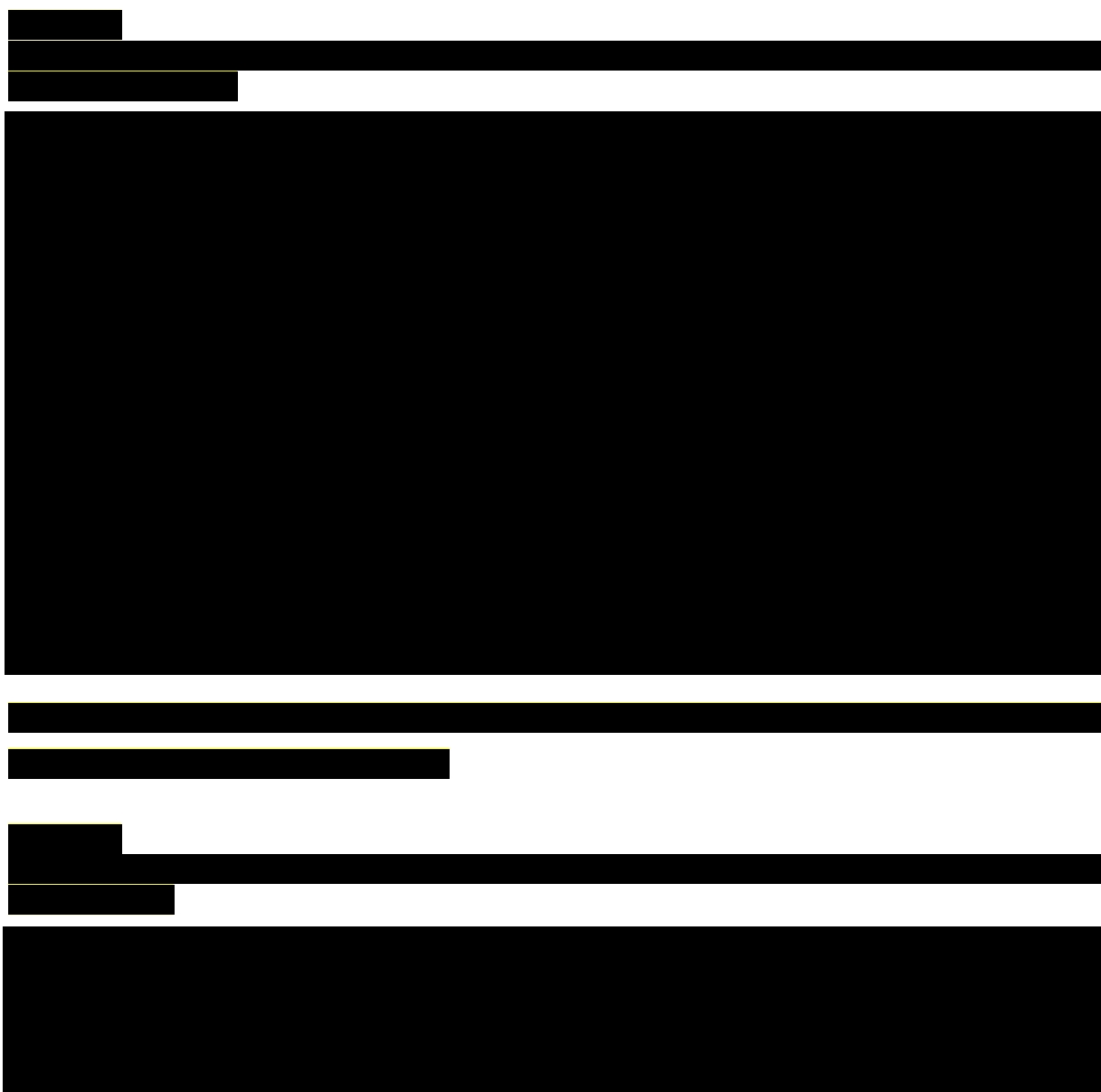
[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]





### **2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku**

Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie pokrywa się z *ChPL Evrysdi®* w postaci tabletek powlekanych, a więc jest zbieżna z populacją chorych, u których technologia wnioskowana może być stosowana. Wielkość tej populacji przedstawiono powyżej (rozdział 2.5.1., .

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

Obecnie rysdyplam w postaci tabletek powlekanych nie jest w Polsce stosowany.

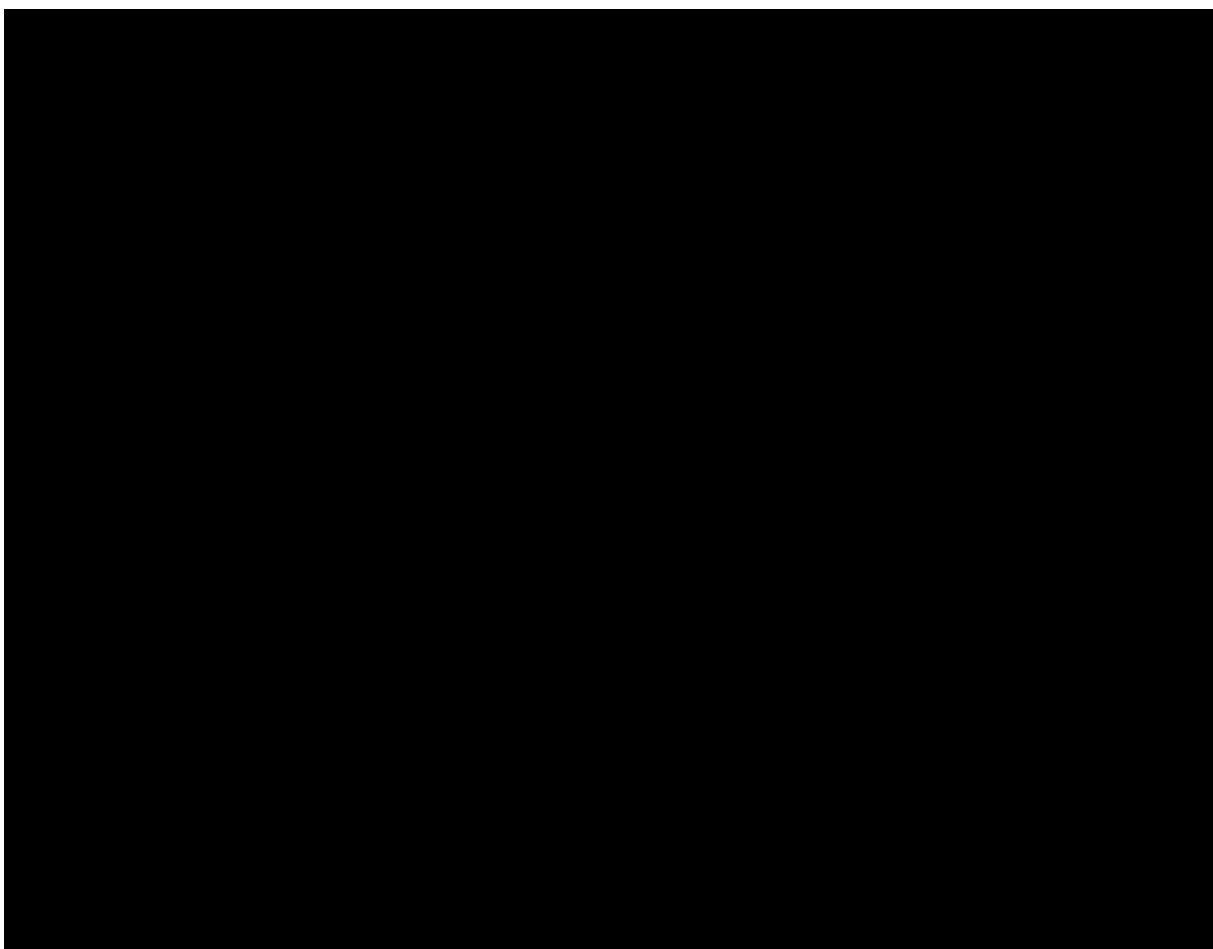
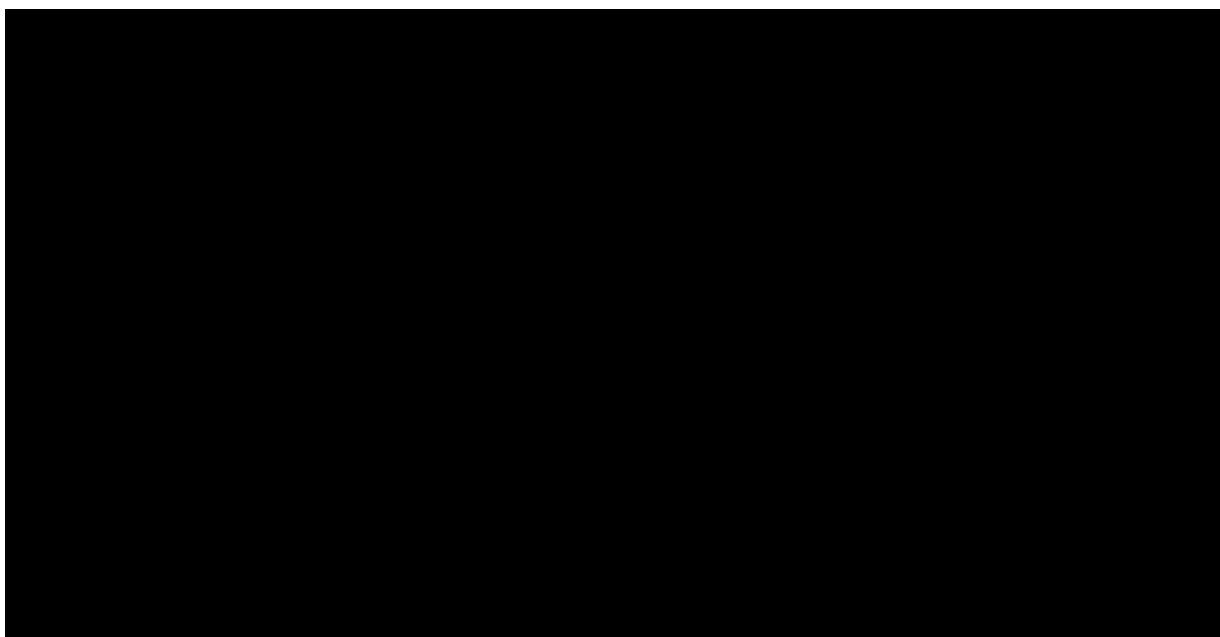
Uwzględniając udziały w rynku (rozdział 2.5.4.1.) oraz wielkość populacji docelowej (rozdział 2.5.2.) oszacowano liczbę chorych leczonych technologią wnioskowaną oraz komparatorem.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]





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

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych, lek ten nie będzie stosowany.

### **2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach**

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

**Tabela 9.**  
**Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**

| Populacja                                                                                          | Oszacowanie rocznej liczebności populacji                                            | Podstawa prawna            |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------|
| Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana |  | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. a |

| Populacja                                                                                                                                                | Oszacowanie rocznej liczebności populacji | Podstawa prawna            |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------|----------------------------|
| Populacja docelowa, wskazana we wniosku                                                                                                                  | [REDACTED]                                | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. b |
| Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana                                                                                       | 0                                         | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. c |
| Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją     | [REDACTED]                                | art. 6 ust. 1 pkt 2        |
| Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją | 0                                         | art. 6 ust. 1 pkt 4        |

## 2.6. Analiza kosztów

W zależności od zastosowanej perspektywy badawczej w analizie uwzględniono koszty odpowiadające zużyciu wszystkich istotnych zasobów wynikających z zastosowania się chorego do aktualnie obowiązującej praktyki klinicznej w Polsce.

W celu oceny obciążenia finansowego w praktyce, związanego z chorobą, w analizie uwzględniono wszystkie istotne rodzaje kosztów (tj. koszty bezpośrednie medyczne).

Po dokładnym przeanalizowaniu badań włączonych do *Analizy klinicznej* oraz przestudiowaniu zapisów programu lekowego w analizie uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztowe ponoszone z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty wydania leków.

Wymienione kategorie kosztowe stanowią całkowite koszty różniące oceniane technologie medyczne.

Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich: koszty podania leków, koszty leczenia zdarzeń niepożądanych, koszty leczenia paliatywnego, koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego, koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia uznano za nieróżniące, zaliczając je do kategorii kosztów wspólnych. Koszty te (jako koszty wspólne dla technologii wnioskowanej i komparatora) nie mają wpływu na wyniki analizy. Nie były zatem

ostatecznie brane pod uwagę w obliczeniach. W poniższej tabeli wyszczególniono poszczególne koszty nieróżniące oraz przedstawiono zasadność kwalifikacji do kategorii kosztów nieróżniących.

**Tabela 10.**  
**Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne**

| Kategoria kosztowa                                                                       | Uzasadnienie kwalifikacji                                                                                                                                                                                                      |
|------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Koszt podania leków                                                                      | Interwencja i komparator występują w postaci do stosowania doustnego, ich podanie nie generuje kosztu dla systemu, natomiast samo wydanie leków generuje koszt dla systemu co zostało uwzględnione w ramach niniejszej analizy |
| Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych                                                     | W odniesieniu do bezpieczeństwa stosowania terapii w <i>Analizie klinicznej</i> nie wykazano różnic pomiędzy technologią ocenianą i komparatorem                                                                               |
| Koszt leczenia paliatywnego                                                              | Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości                                                                                                                                 |
| Koszt kwalifikacji chorych do leczenia biologicznego w <i>Programie lekowym B.102.FM</i> | Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości                                                                                                                                 |
| Koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia                           | Dotyczy wszystkich chorych leczonych technologią ocenianą i komparatorem w tej samej wysokości                                                                                                                                 |

Ponieważ poszczególne kategorie kosztowe zostały scharakteryzowane i skalkulowane w ramach *Analizy ekonomicznej* w analizie wpływu na system ochrony zdrowia zaprezentowano jedynie koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej i komparatora oraz modelowanie i podsumowanie kosztów.

### 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz komparatora

Do obliczenia kosztu stosowania uwzględnianych technologii medycznych konieczne było określenie zużycia zasobów (dawkowania) oraz cen jednostkowych poszczególnych prezentacji leków.

#### 2.6.1.1. Dawkowanie

#### RYSDYPLAM W POSTACI TABLETEK POWLEKANYCH

Zgodnie z dawkowaniem określonym w *ChPL Evrysdi®*, zalecana dawka dobową rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych dla chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg wynosi 5 mg. Chorzy, którzy wymagają stosowania sondy nosowo-żołądkowej





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

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela (Tabela 11.).

**Tabela 11.**  
**Charakterystyka kosztowa leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych (PLN)**

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

### 2.6.1.3. Koszt stosowania komparatora

Komparator jest obecnie finansowany w programie lekowym i wydawany jest świadczeniobiorcy bezpłatnie.

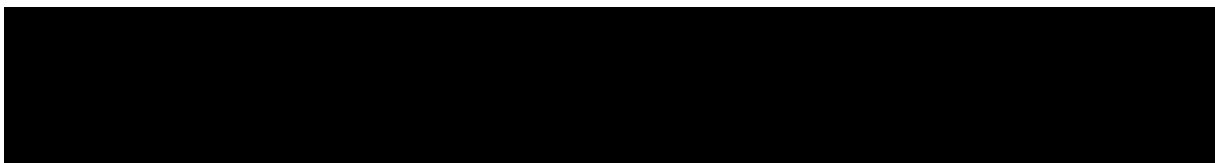
Cena zbytu netto leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego wynosi 35 625,21 PLN za opakowanie z 1 butelką o zawartości 60 mg rysdyplamu [Wykaz leków refundowanych].

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

Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela.

**Tabela 12.**  
**Charakterystyka kosztowa leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego (PLN)**

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

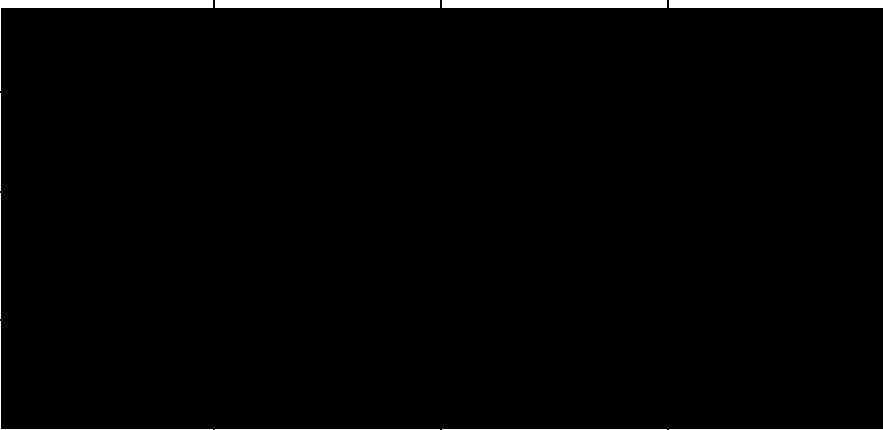


#### 2.6.1.4. Zestawienie kosztów leków

Na podstawie dawkowania, cen leków oraz proponowanych warunków RSS wyznaczono koszt leków w przeliczeniu na opakowanie oraz średni koszt na cykl. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

**Tabela 13.**

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

| Substancja                                                             | Koszt opakowania                                                                    |                     | Koszt w cyklu                    |                                  |
|------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|---------------------|----------------------------------|----------------------------------|
|                                                                        | Perspektywa płatnika publicznego                                                    | Perspektywa wspólna | Perspektywa płatnika publicznego | Perspektywa płatnika publicznego |
| Rysdyplam w postaci tabletek powlekanych bez RSS                       |  |                     |                                  |                                  |
| Rysdyplam w postaci tabletek powlekanych z RSS                         |                                                                                     |                     |                                  |                                  |
| Rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego bez RSS |                                                                                     |                     |                                  |                                  |
| Rysdyplam w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego z RSS   |                                                                                     |                     |                                  |                                  |

#### 2.6.2. Pozostałe kategorie kosztowe

W obliczeniach analizy wpływu na budżet uwzględniono dokładnie te same kategorie kosztów jak w *Analizie ekonomicznej* – dokładny opis sposobu oszacowania kosztów znajduje się w rozdziale 6. *Analizy ekonomicznej*.

#### 2.6.3. Modelowanie kosztów

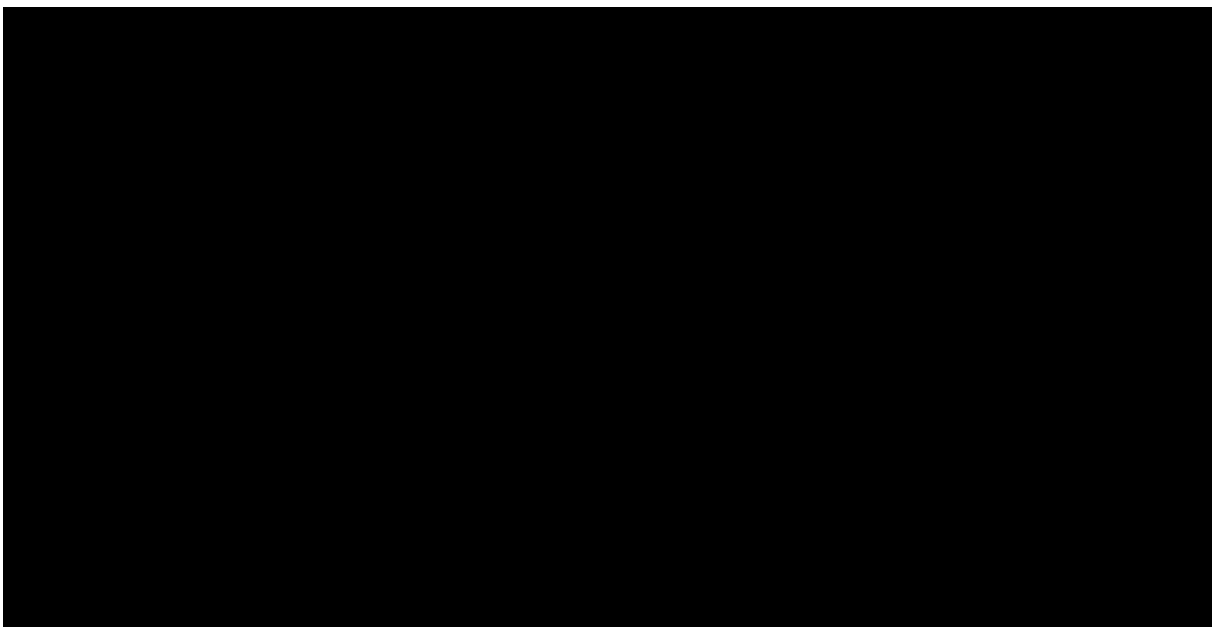


Choremu, który rozpocznie terapię w styczniu, pierwszego roku analizy przypisany zostanie koszt odpowiadający 2 latom leczenia w modelu ekonomicznym (niezdyskontowany), przy czym w pierwszym roku analizy BIA przypisany zostanie koszt pierwszych 12 miesięcy terapii, w drugim roku koszt od 13 do 24 miesiąca terapii w modelu. Z kolei choremu, który rozpocznie leczenie np. w 6 miesiącu roku, w pierwszym roku analizy BIA zostanie przyporządkowany koszt pierwszych 7 miesięcy terapii w modelu, w drugim roku BIA koszt od 8 do 19 miesiąca modelu itd.

W tabelach poniżej przedstawiono sposób naliczania kosztów dla terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych, który następnie krótko omówiono. Pierwsza tabela przedstawia koszty rocznej terapii chorego wnioskowaną technologią w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia (odpowiedni miesiąc roku), kolejna przedstawia średnie koszty roczne dla wnioskowanej technologii.

**Tabela 14.**

**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w czasie roku (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka**

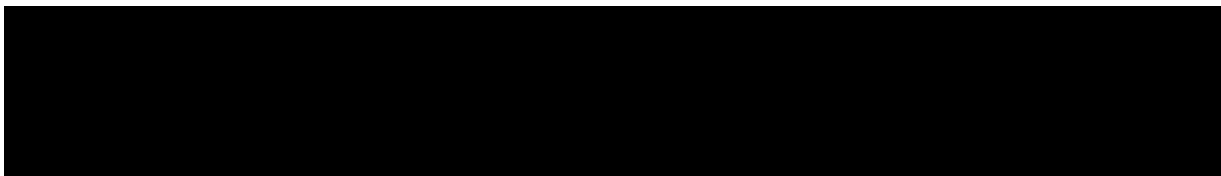


W pierwszej kolumnie powyższej tabeli przedstawiono okres w ciągu roku, w którym chory przystępuje do leczenia, w drugiej i trzeciej kolumnie znajdują się udziały chorych odzwierciedlające zachorowalność (i rozpoczęcie terapii przez chorych) w ciągu roku. Kolejne kolumny reprezentują koszt jaki ponosi chory w kolejnych latach horyzontu czasowego analizy.

W poniższych tabelach przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w populacji docelowej w podziale na scenariusz istniejący oraz nowy.

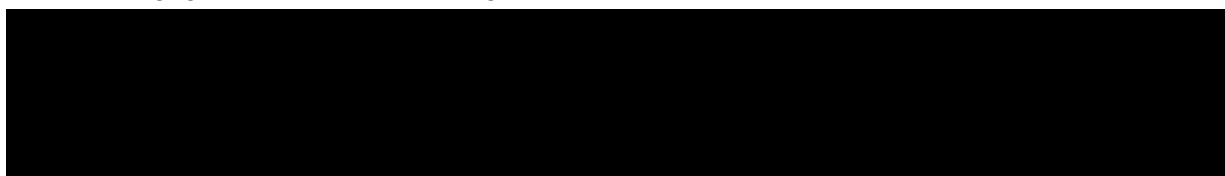
**Tabela 16.**

**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka – scenariusz istniejący**



**Tabela 17.**

**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka – scenariusz nowy**



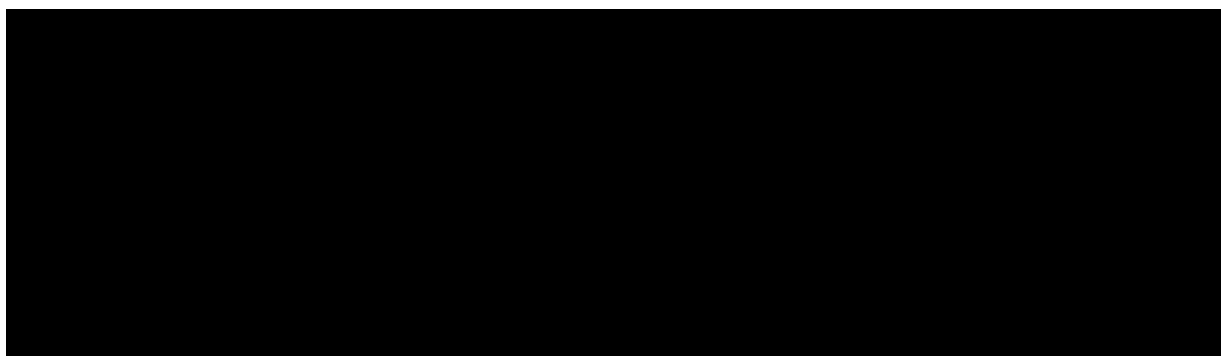
#### **2.6.4. Podsumowanie kosztów**

W poniższych tabelach przedstawiono podsumowanie średnich kosztów rocznych.

W poniższej tabeli przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego ponoszony w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w wersji z RSS oraz bez RSS.

**Tabela 18.**

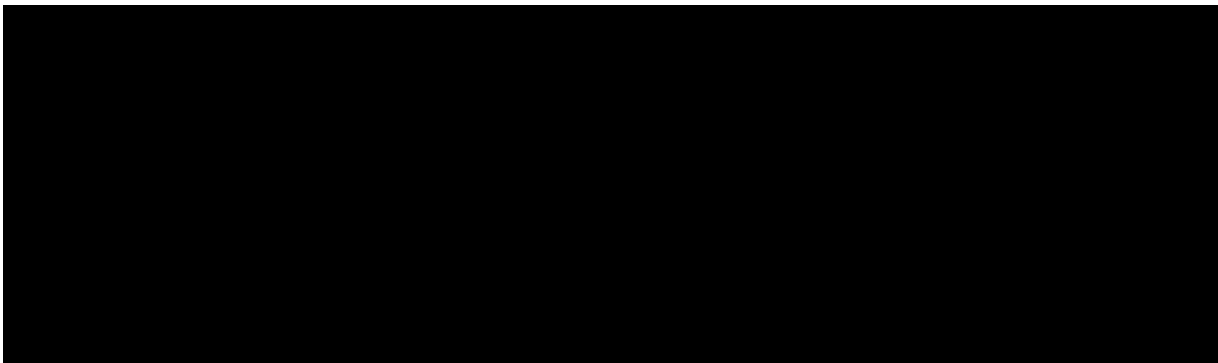
**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**



W poniższej tabeli przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego ponoszony na lek Evrysdi® w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w wersji z RSS oraz bez RSS.

**Tabela 19.**

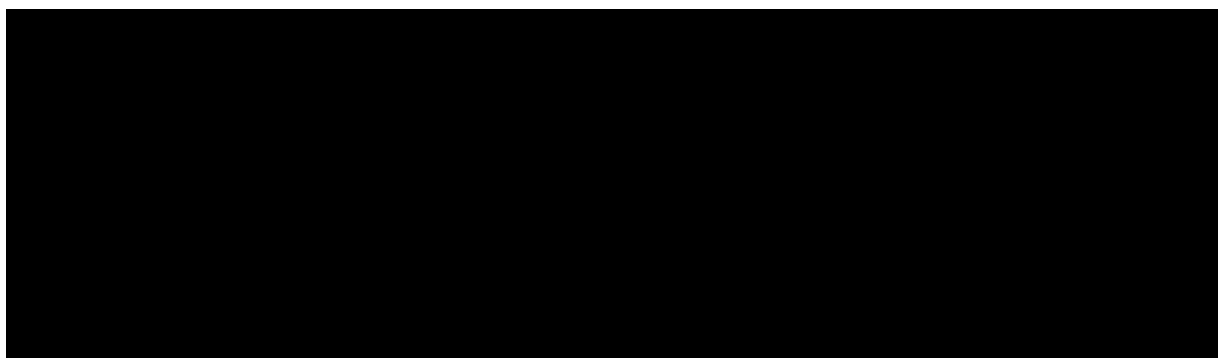
**Koszty ponoszone na lek Evrysdi® w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**



W poniższych tabelach przedstawiono średni roczny koszt leczenia chorego rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w populacji docelowej w wersji z RSS oraz bez RSS w podziale na scenariusz istniejący oraz nowy.

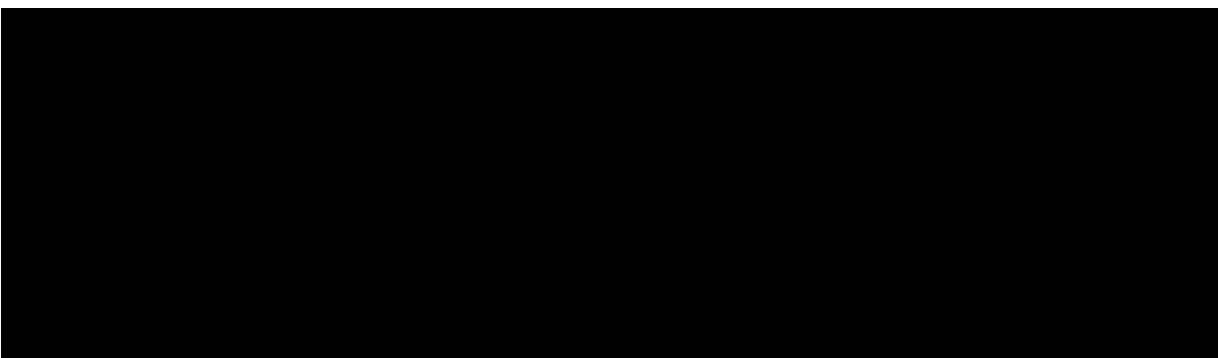
**Tabela 20.**

**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) – scenariusz istniejący**



**Tabela 21.**

**Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) – scenariusz nowy**



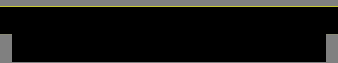
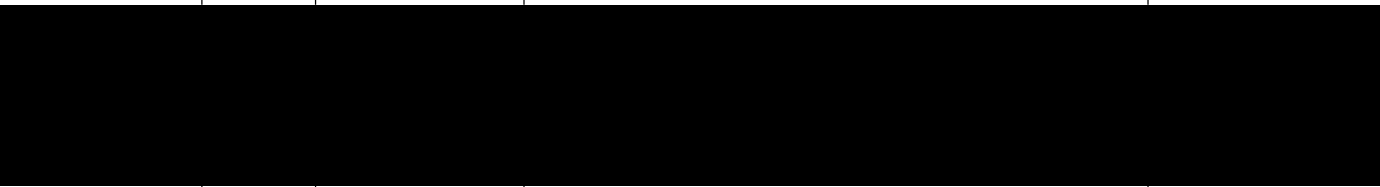
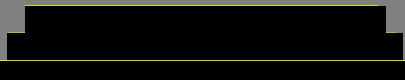
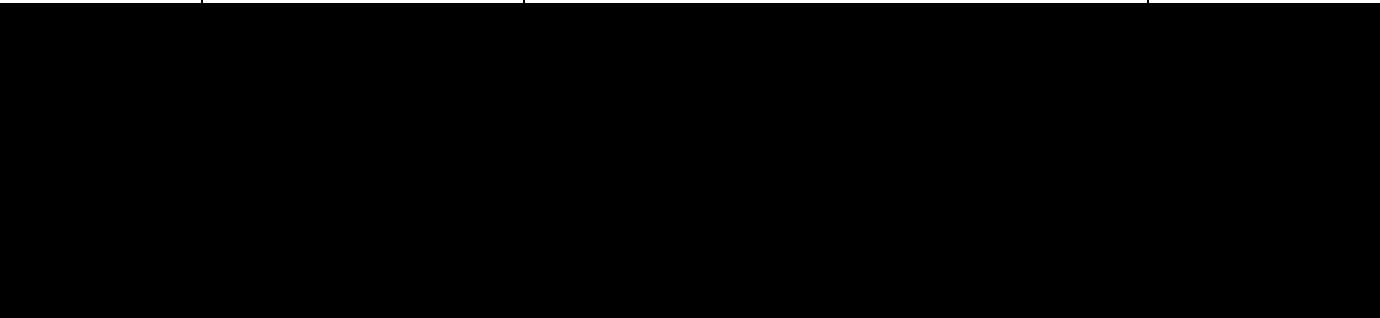
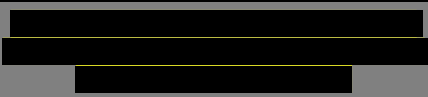
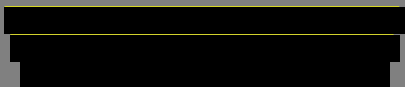
---

## 2.7. Podsumowanie danych wejściowych

Podsumowanie danych wejściowych oraz przyjętych założeń, a także scenariusze analizy podstawowej i analizy wrażliwości zebrano w poniższej tabeli.

**Tabela 22.**

**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

| Parametr                                                                            | Wartość parametru z analizy podstawowej                                             | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności | Źródła danych dla wartości parametru |
|-------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------|--------------------------------------|
| Parametry analizy wpływu na budżet                                                  |                                                                                     |                                                                                                        |                                            |                                      |
| Horyzont czasowy analizy                                                            | 2-letni                                                                             | n/d                                                                                                    | n/d                                        | Rozdział 2.2.                        |
| Liczebność populacji docelowej                                                      | Rozdział 2.5.2.                                                                     | Rozdział 2.5.2.                                                                                        | Rozdział 2.5.2.                            | Rozdział 2.5.2.                      |
| Udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych                               | Rozdział 2.5.4.1.                                                                   | Rozdział 2.5.4.1.                                                                                      | Rozdział 2.5.4.1.                          | Rozdział 2.5.4.1.                    |
|    |   |                                                                                                        |                                            |                                      |
| Liczebność chorych leczonych technologią wnioskowaną                                | Rozdział 2.5.4.2.                                                                   | Rozdział 2.5.4.2.                                                                                      | Rozdział 2.5.4.2.                          | Rozdział 2.5.4.2.                    |
|   |  |                                                                                                        |                                            |                                      |
|  |                                                                                     |                                                                                                        |                                            |                                      |
|  |                                                                                     |                                                                                                        |                                            |                                      |
|  |                                                                                     |                                                                                                        |                                            |                                      |



| Parametr                                     | Wartość parametru z analizy podstawowej | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności | Źródła danych dla wartości parametru |
|----------------------------------------------|-----------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------|--------------------------------------|
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div><div></div><div></div><div></div></div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| Parametry kosztowe                           |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| VAT                                          | 8%                                      | n/d                                                                                                    | n/d                                        | Ustawa o refundacji                  |

| Parametr                                                                                                       | Wartość parametru z analizy podstawowej | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności                                                                                                                                                                                                                                              | Źródła danych dla wartości parametru                  |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------|
| Marża hurtowa                                                                                                  | 6%                                      | n/d                                                                                                    | n/d                                                                                                                                                                                                                                                                                     | Ustawa o refundacji                                   |
|                                                                                                                |                                         |                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                                                                                         |                                                       |
|                                                                                                                |                                         |                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                                                                                         |                                                       |
|                                                                                                                |                                         |                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                                                                                         |                                                       |
| CZN za opakowanie leku Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml (PLN) | 35 625,21                               | n/d                                                                                                    | n/d                                                                                                                                                                                                                                                                                     | Wykaz leków refundowanych                             |
|                                                                                                                |                                         |                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                                                                                         |                                                       |
|                                                                                                                |                                         |                                                                                                        |                                                                                                                                                                                                                                                                                         |                                                       |
| Koszt wizyty ambulatoryjnej w ramach Programu lekowego B.102.FM (PLN)                                          | 191,44                                  | n/d                                                                                                    | Wartość punktowa świadczenia "przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu" [Zarządzenie programy lekowe] przemnożona przez wycenę punktu produktu kontraktowego "Program lekowy - Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni" [Informator o umowach NFZ]. | Zarządzenie programy lekowe, Informator o umowach NFZ |

| Parametr                                                                                                                               | Wartość parametru z analizy podstawowej                                   | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) |                                                                     | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | Źródła danych dla wartości parametru                  |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------|
| Koszt hospitalizacji jednodniowej w ramach Programu lekowego B.102.FM (PLN)                                                            | 861,49                                                                    | n/d                                                                                                    |                                                                     | Wartość punktowa świadczenia "hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu" [Zarządzenie programy lekowe] przemnożona przez wycenę punktu produktu kontraktowego "Program lekowy - Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni" [Informator o umowach NFZ].                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               | Zarządzenie programy lekowe, Informator o umowach NFZ |
| Świadczenie, w ramach którego rozliczane jest co 2 miesiące wydanie leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego | przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu | alter                                                                                                  | hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu | Zgodnie z ChPL Evrysdi® przed wydaniem pacjentowi proszek Evrysdi® musi zostać rozpuszczony przez osobę z fachowego personelu medycznego (np. farmaceutę) w celu uzyskania roztworu doustnego, natomiast okres ważności sporządzonego roztworu wynosi 64 dni. W związku z tym w analizie podstawowej przyjęto, że wydanie leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego odbywa się co 2 miesiące i założono, iż jest ono rozliczane w ramach wizyty ambulatoryjnej.<br><br>W scenariuszu alternatywnym testowano jak na wyniki analizy wpływa uwzględnienie rozliczania wydania leku w ramach hospitalizacji jednodniowej. | Zarządzenie programy lekowe                           |
| Częstotliwość wydawania pacjentowi leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych                                                        | co 6 miesięcy                                                             | alter                                                                                                  | co 3 miesiące                                                       | W analizie podstawowej przyjęto, iż wydanie leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych odbywa się w ramach wizyty ambulatoryjnej co 6 miesięcy.<br><br>W scenariuszu alternatywnym testowano jak na wyniki analizy wpływa uwzględnienie częstszych wizyt ambulatoryjnych pacjenta w celu wydania leku, tj. co 3 miesiące.                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | Założenie                                             |

| Parametr                                                                                                                      | Wartość parametru z analizy podstawowej                                               | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) |                                          | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności                                                                                                                                                                  | Źródła danych dla wartości parametru |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------|
| Podstawa limitu grupy limitowej 1254.0, Rysdyplam                                                                             | Lek Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml | alter                                                                                                  | Lek Evrysdi®, tabl. powl., 5 mg, 28 szt. | Analiza podstawowa: podstawa limitu lek Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml.<br>Analiza wrażliwości: podstawa limitu lek Evrysdi®, tabl. powl., 5 mg, 28 szt. | Założenie                            |
| Pozostałe parametry                                                                                                           |                                                                                       |                                                                                                        |                                          |                                                                                                                                                                                                             |                                      |
| Liczba dni w roku                                                                                                             | 365,25                                                                                | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | Założenie                            |
| Dawka dobową RYS dla chorego w wieku < 2 miesiące (mg/kg m.c.)                                                                | 0,15                                                                                  | n/d                                                                                                    |                                          | Zgodnie z danymi ze <i>Statystyk NFZ</i> nie odnotowanego ani jednego chorego leczonego RYS w wieku < 1 roku życia w latach 2022-2023                                                                       | ChPL Evrysdi®                        |
| Dawka dobową RYS dla chorego w wieku ≥ 2 miesiące do < 2 lat (mg/kg m.c.)                                                     | 0,20                                                                                  | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | ChPL Evrysdi®                        |
| Dawka dobową RYS dla chorego w wieku ≥ 2 lat i masie ciała < 20 kg (mg/kg m.c.)                                               | 0,25                                                                                  | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | ChPL Evrysdi®                        |
| Dawka dobową RYS dla chorego w wieku ≥ 2 lat i masie ciała ≥ 20 kg (mg)                                                       | 5                                                                                     | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | ChPL Evrysdi®                        |
| DDD dla rysdyplamu (mg)                                                                                                       | 5,0                                                                                   | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | WHO                                  |
| Liczba mg rysdyplamu w opakowaniu leku Evrysdi®, tabl. powl., 5 mg, 28 szt. (mg)                                              | 140                                                                                   | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | ChPL Evrysdi®                        |
| Liczba mg rysdyplamu w opakowaniu leku Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml (mg) | 60                                                                                    | n/d                                                                                                    |                                          | n/d                                                                                                                                                                                                         | ChPL Evrysdi®                        |

| Parametr                             | Wartość parametru z analizy podstawowej | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności | Źródła danych dla wartości parametru |
|--------------------------------------|-----------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------|--------------------------------------|
| <div> <div></div> <div></div> </div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| <div> <div></div> <div></div> </div> |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |

---

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowania wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty różniące leczenia jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

### 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano, biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2025 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą około [REDACTED] PLN w skali roku.

Obecnie rysdyplam w postaci tabletek powlekanych 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 i wspólnej. Dodatkowo wyniki przedstawiono z uwzględnieniem lub nie instrumentów dzielenia ryzyka (wersja z RSS, wersja bez RSS) oraz w wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

---

\_\_\_\_\_

| Wariant                         |  |  |  |  | Wydatki inkrementalne |                |
|---------------------------------|--|--|--|--|-----------------------|----------------|
|                                 |  |  |  |  | 1. rok analizy        | 2. rok analizy |
| Całkowite koszty różniące (PLN) |  |  |  |  |                       |                |
| minimalny                       |  |  |  |  | -8 466 958,69         | -11 931 619,31 |
| prawdopodobny                   |  |  |  |  | -10 304 620,03        | -15 594 570,73 |
| maksymalny                      |  |  |  |  | -12 142 281,37        | -19 257 522,15 |
|                                 |  |  |  |  |                       |                |
|                                 |  |  |  |  |                       |                |
|                                 |  |  |  |  |                       |                |
|                                 |  |  |  |  |                       |                |

### 3. Analiza wrażliwości

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

W 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.

Wyniki analizy wrażliwości w perspektywie wspólnej są tożsame z wynikami w perspektywie płatnika publicznego. W związku z tym w poniższych tabelach wyniki są odpowiednie dla obu perspektyw.

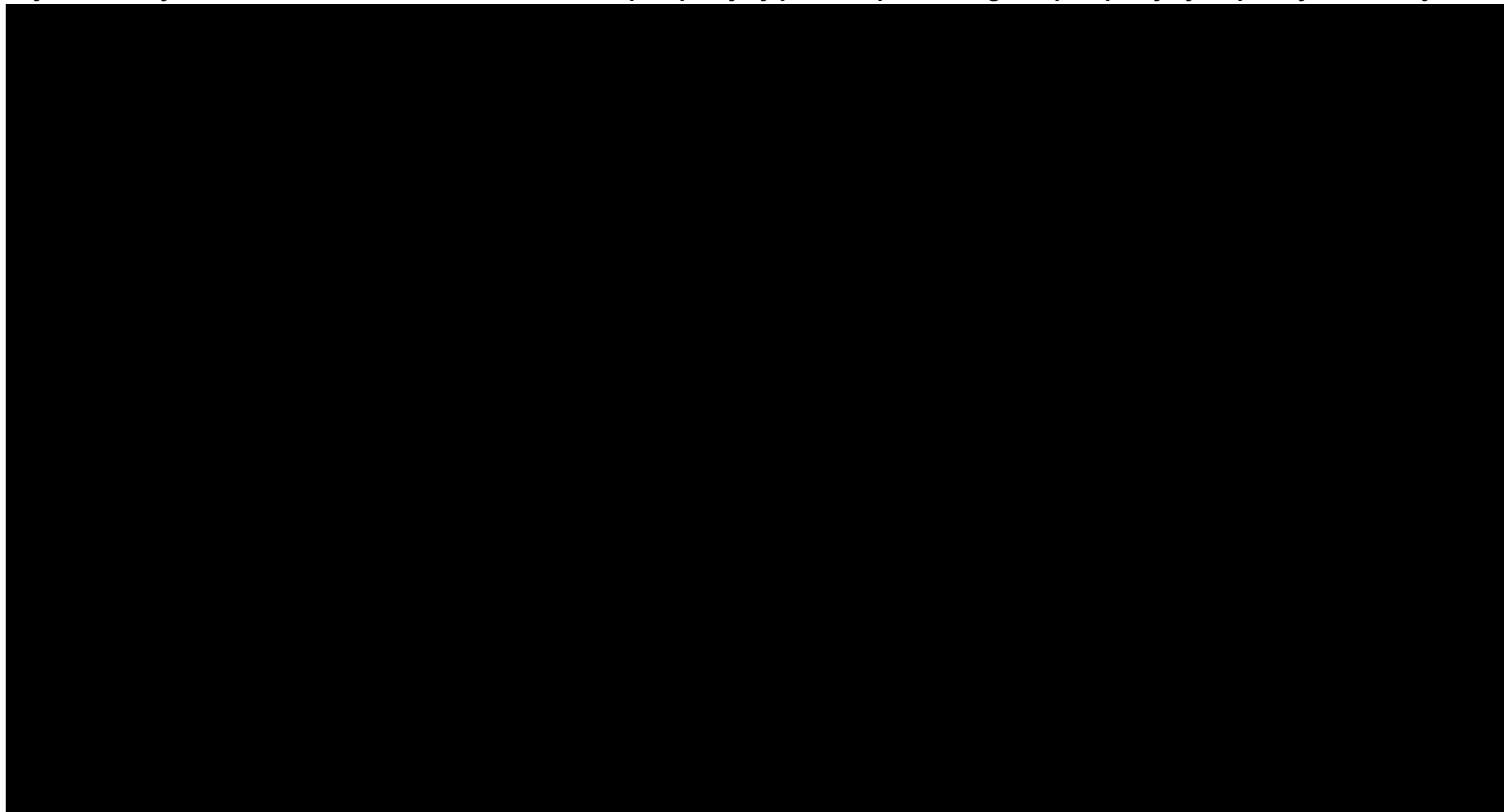


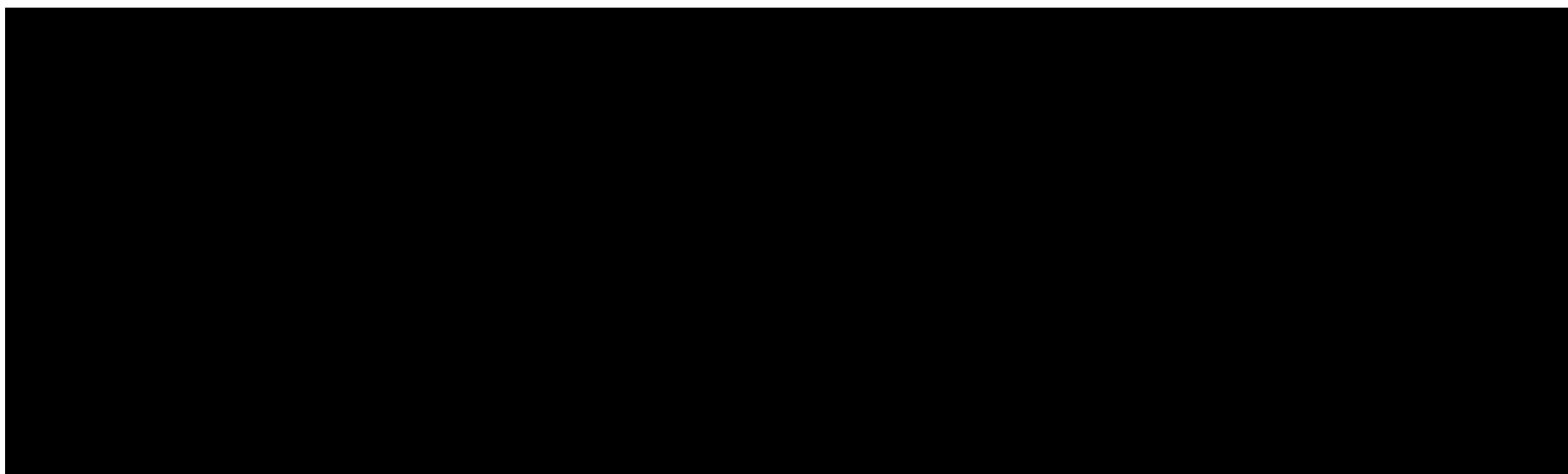
Wyniki analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy przedstawiono w poniższych tabelach.



**Tabela 25.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego i z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS**





**Tabela 26.**  
**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego i z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS**

|  |  |  | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant minimalny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant prawdopodobny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant maksymalny |                |
|--|--|--|------------------------------------------------|----------------|----------------------------------------------------|----------------|-------------------------------------------------|----------------|
|  |  |  | 1. rok                                         | 2. rok         | 1. rok                                             | 2. rok         | 1. rok                                          | 2. rok         |
|  |  |  | -8 466 958,69                                  | -11 931 619,31 | -10 304 620,03                                     | -15 594 570,73 | -12 142 281,37                                  | -19 257 522,15 |
|  |  |  | -8 340 625,30                                  | -11 753 590,57 | -10 150 867,35                                     | -15 361 888,00 | -11 961 109,40                                  | -18 970 185,43 |

|  |  |  | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant minimalny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant prawdopodobny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant maksymalny |                |
|--|--|--|------------------------------------------------|----------------|----------------------------------------------------|----------------|-------------------------------------------------|----------------|
|  |  |  | 1. rok                                         | 2. rok         | 1. rok                                             | 2. rok         | 1. rok                                          | 2. rok         |
|  |  |  | -8 466 958,69                                  | -11 931 619,31 | -10 304 620,03                                     | -15 594 570,73 | -12 142 281,37                                  | -19 257 522,15 |
|  |  |  |                                                |                |                                                    |                |                                                 |                |
|  |  |  | -10 105 916,86                                 | -14 298 945,94 | -12 753 838,29                                     | -19 513 434,93 | -15 401 759,73                                  | -24 727 923,93 |
|  |  |  | -11 196 799,36                                 | -11 931 619,31 | -13 503 012,23                                     | -15 594 570,73 | -15 809 225,11                                  | -19 257 522,15 |
|  |  |  | -9 354 989,84                                  | -13 183 030,83 | -11 385 388,69                                     | -17 230 159,74 | -13 415 787,54                                  | -21 277 288,66 |
|  |  |  | -8 382 384,30                                  | -11 812 437,26 | -10 201 689,69                                     | -15 438 800,35 | -12 020 995,07                                  | -19 065 163,44 |
|  |  |  | -169 148,79                                    | -238 364,10    | -205 860,70                                        | -311 540,76    | -242 572,60                                     | -384 717,43    |

|  |  |  | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant minimalny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant prawdopodobny |                | Wynik inkrementalny (PLN)<br>wariant maksymalny |                |
|--|--|--|------------------------------------------------|----------------|----------------------------------------------------|----------------|-------------------------------------------------|----------------|
|  |  |  | 1. rok                                         | 2. rok         | 1. rok                                             | 2. rok         | 1. rok                                          | 2. rok         |
|  |  |  | -8 466 958,69                                  | -11 931 619,31 | -10 304 620,03                                     | -15 594 570,73 | -12 142 281,37                                  | -19 257 522,15 |
|  |  |  |                                                |                |                                                    |                |                                                 |                |

---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Terapia lekiem Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych stanowiąc alternatywę dla leczenia lekiem Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego jest opcją terapeutyczną, która przez inną postać leku może wpłynąć znacząco na jakość życia chorych, ale również na organizację udzielania świadczeń. Zgodnie z *ChPL Evrysdi®* przed wydaniem pacjentowi proszek Evrysdi® musi zostać rozpuszczony przez osobę z fachowego personelu medycznego (np. farmaceutę) w celu uzyskania roztworu doustnego, natomiast okres ważności sporządzonego roztworu wynosi 64 dni. Tym samym wydanie choremu leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego odbywa się co 2 miesiące. Z kolei wydanie choremu wnioskowanej technologii może odbywać się znacząco rzadziej ze względu na postać leku, tj. tabletki powlekane. Zastąpienie terapii lekiem Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego terapią lekiem Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych wpłynąć może zatem na obniżenie zapotrzebowania na planowe wizyty szpitalne oraz wykorzystanie specjalistycznych świadczeń.

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 może mieć jednak wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych poprzez zmniejszenie zapotrzebowania na realizację specjalistycznych świadczeń szpitalnych związanych z wydaniem leków.

---

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Rdzeniowy zanik mięśni to rzadka, uwarunkowana genetycznie choroba neurodegeneracyjna o przebiegu postępującym. W przebiegu SMA dochodzi do stopniowej degeneracji neuronów ruchowych w rogach przednich rdzenia kręgowego oraz w jądrach ruchowych dolnej części pnia mózgu. Bezpośrednią przyczyną choroby jest homozygotyczna utrata funkcji genu SMN1, który odpowiada za produkcję białka SMN – kluczowego dla przeżycia i prawidłowego działania neuronów ruchowych. W organizmie występuje również podobny gen – SMN2 – który może częściowo kompensować niedobór białka SMN. Jednak na skutek różnic w przetwarzaniu jego transkryptu, większość cząsteczek SMN powstałych z genu SMN2 jest niepełna i pozbawiona funkcji biologicznej, ponieważ w procesie alternatywnego składania RNA (splicingu) pomijany jest istotny fragment – ekson 7. Skutkuje to postępującą hipotonią, osłabieniem i zanikiem mięśni szkieletowych, co ogranicza zdolność do wykonywania podstawowych czynności życiowych. Najcięższe postaci choroby prowadzą do niewydolności oddechowej, zaburzeń połykania oraz braku możliwości samodzielnego poruszania się [Keinath 2021].

Coraz częściej zwraca się uwagę na **wielonarządowy charakter SMA**. Choć klasyfikowana jest jako choroba neuronów ruchowych, ekspresja białka SMN zachodzi również w innych tkankach. U chorych – zwłaszcza z cięższymi fenotypami – opisywano wady serca, zaburzenia rytmu, zaburzenia czynności nerek, trzustki i układu odpornościowego. Wydłużenie przeżycia dzięki leczeniu może wiązać się z większym znaczeniem objawów pozaruchowych w dalszym przebiegu choroby [Keinath 2021].

Jak podkreślono w licznych publikacjach, SMA jest chorobą **upośledzającą sprawność fizyczną, prowadzącą do niewydolności oddechowej i zagrażającą życiu chorego** [Keinath 2021, Gierlak-Wójcicka 2018, Majchrzak-Celińska 2020, Messina 2020, Szczerba 2018, Włodarczyk 2019]. Postępujące osłabienie mięśni w sposób znamieny wpływa na życie zarówno chorych, jak i ich opiekunów, stanowiąc znaczne obciążenie społeczno-ekonomiczne. Chorzy często wymagają intensywnej opieki medycznej i pielęgnacyjnej, a także dostosowania otoczenia i stałego wsparcia w wykonywaniu codziennych czynności [Yao 2021]. Badania dotyczące jakości życia związanej ze zdrowiem (HRQoL) wykazały **silne pogorszenie jakości życia chorych oraz opiekunów chorych na SMA w stosunku do populacji ogólnej**. Dotyczy to w szczególności aspektów związanych

z niezależnością funkcjonalną, mobilnością, integracją społeczną oraz dobrostanem psychicznym [Callan 2018\_ab].

Z uwagi na ciężki, postępujący przebieg choroby oraz jej wielowymiarowy wpływ na funkcjonowanie chorych i ich rodzin, szczególnego znaczenia nabiera wczesne wdrożenie skutecznego leczenia modyfikującego przebieg SMA. Jedną z dostępnych opcji terapeutycznych o udokumentowanej skuteczności i korzystnym profilu bezpieczeństwa jest rysdyplam – doustny, systemowo działający modulator *splicingu*, którego mechanizm opiera się na zwiększaniu produkcji funkcjonalnego białka SMN z genu SMN2 [ChPL Evrysdi®].

Rysdyplam wiąże się z pre-mRNA SMN2 i stabilizuje jego składanie, co prowadzi do zwiększenia liczby transkryptów zawierających ekson 7. W rezultacie dochodzi do wzrostu poziomu pełnowartościowego białka SMN, którego niedobór jest bezpośrednią przyczyną neurodegeneracji obserwowanej w SMA. Zwiększenie dostępności białka SMN występuje zarówno w ośrodkowym układzie nerwowym, jak i w tkankach obwodowych, co może mieć znaczenie dla ograniczenia pozaruchowych objawów choroby oraz wpływu układowego [EPAR 2025].

Skuteczność rysdyplamu została potwierdzona w wieloośrodkowych badaniach klinicznych obejmujących szerokie spektrum populacji chorych z SMA – od niemowląt po osoby dorosłe, zarówno z typem 1, jak i 2 oraz 3 choroby. Wykazano istotne klinicznie korzyści w zakresie poprawy lub stabilizacji funkcji motorycznych, zwiększenia przeżywalności wolnej od trwałej wentylacji mechanicznej oraz utrzymania dotychczasowych umiejętności ruchowych. Efekty terapeutyczne były obserwowane również u chorych wcześniej nieleczonych oraz u osób, które utraciły zdolność samodzielnego chodzenia [EPAR 2025].

Rysdyplam jest lekiem podawanym doustnie. Może być podawany w warunkach domowych, a więc redukuje obciążenia organizacyjne związane z leczeniem. Ogólnoustrojowe działanie leku pozwala na utrzymanie stabilnych stężeń terapeutycznych w tkankach, przy jednoczesnym ograniczeniu ryzyka związanego z bardziej inwazyjnymi drogami podania [EPAR 2025].

Obecnie rysdyplam jest refundowany w postaci proszku do przygotowywania roztworu doustnego. Forma ta została opracowana z myślą o chorych, którzy nie są w stanie połknąć tabletki, w szczególności o niemowlętach, małych dzieciach oraz osobach z zaburzeniami połykania. Roztwór doustny może być łatwo podawany za pomocą strzykawki doustnej, co umożliwia dostosowanie objętości dawki do masy ciała chorego. Wymaga on jednak

przygotowania przez farmaceutę i przechowywania w warunkach chłodniczych (2–8°C) przez maksymalnie 64 dni od momentu sporządzenia, zgodnie z informacjami zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego [*ChPL Evrysdi*®].

Dzięki możliwości indywidualnego dostosowania dawki do masy ciała chorego oraz podania leku w formie płynnej, aktualnie refundowana postać roztworu doustnego stanowi odpowiednie rozwiązanie terapeutyczne dla najmłodszych chorych, u których wymagane jest przeliczenie dawki w odniesieniu do masy ciała (mg/kg), a także dla tych, u których występują istotne trudności w połykaniu. U chorych, którzy mają założoną sondę nosowo-żołądkową lub gastrostomijną, roztwór rysdyplamu może być podawany bezpośrednio przez sondę. Stabilność farmaceutyczna roztworu przez okres 64 dni oraz przejrzyste zasady dawkowania pozwalają na bezpieczne i przewidywalne stosowanie leku w warunkach domowych, przy wsparciu opiekunów. Jednocześnie, potrzeba przechowywania roztworu w warunkach chłodniczych i przygotowania roztworu przez farmaceutę sprawia, że forma ta może nie być optymalna dla wszystkich chorych – w szczególności tych, którzy osiągnęli wiek oraz masę ciała kwalifikujące ich do stosowania tabletek i u których możliwe jest bezpieczne przyjęcie stałej postaci doustnej [*ChPL Evrysdi*®].

Dla tej grupy chorych rysdyplam w postaci tabletek powlekanych stanowi alternatywną formę leczenia, umożliwiającą uproszczenie schematu terapeutycznego bez kompromisu w zakresie skuteczności czy bezpieczeństwa. Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, tabletki mogą być stosowane u chorych w wieku co najmniej 2 lat i o masie ciała  $\geq 20$  kg. Lek może być przyjęty doustnie poprzez połknięcie tabletki w całości lub po jej rozpuszczeniu w niewielkiej objętości wody (ok. 5 ml), bez konieczności użycia dodatkowych przyrządów do jego podania [*ChPL Evrysdi*®].

Każda tabletką zawiera określoną dawkę dobową rysdyplamu, co eliminuje potrzebę odmierzania objętości płynu i może zmniejszać ryzyko błędów dawkowania. W codziennej praktyce klinicznej rozwiązanie to może stanowić istotne ułatwienie zarówno dla chorych, jak i ich opiekunów. Ponadto tabletki mogą być przechowywane w temperaturze pokojowej (20°C–25°C), co zwiększa wygodę leczenia, szczególnie u osób aktywnych zawodowo, uczęszczających do placówek edukacyjnych lub podróżujących. Możliwość przechowywania w temperaturze pokojowej oraz uproszczony sposób podania ułatwiają prowadzenie terapii w warunkach domowych i jej dostosowanie do codziennego funkcjonowania chorego [*ChPL Evrysdi*®].



Uwzględnienie tej postaci farmaceutycznej w praktyce terapeutycznej może stanowić istotne uzupełnienie obecnych możliwości leczenia, szczególnie w kontekście zróżnicowanych potrzeb klinicznych i funkcjonalnych chorych na SMA [*ChPL Evrysdi*®].

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem chorych spełniających wszystkie kryteria włączenia, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

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

Poniższa tabela przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącą stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

**Tabela 27.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

| Warunek                                                                                                                                     | Wartość                                |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------|
| Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;                                     | Żadne                                  |
| Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;                                                | Tak                                    |
| Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;                                                 | Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych |
| Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia. | Nie                                    |
| <b>Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>                               |                                        |
| wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;                                                                    | Nie                                    |
| grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;                                                                        | Nie                                    |
| powodować lub zmieniać stygmatyzację;                                                                                                       | Nie                                    |
| wywoływać ponadprzeciętny lęk;                                                                                                              | Nie                                    |
| powodować dylematy moralne;                                                                                                                 | Nie                                    |
| stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.                                                                                              | Nie                                    |
| <b>Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>                                                                                        |                                        |
| stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,                                                                        | Nie                                    |
| czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;                                                                                | Nie                                    |
| oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.                                                                                           | Nie                                    |
| <b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>                                                                     |                                        |

| Warunek                                                                                                                                     | Wartość |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------|
| konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;                                                                  | Nie     |
| potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;                     | Nie     |
| potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania. | Nie     |

## 6. Ograniczenia

[REDACTED]

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: kosztów leków oraz kosztów wydania leków.

[REDACTED]

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach istniejącej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1. Przyjęto także, że podstawę limitu w grupie 1254.0, Rysdyplam wyznaczać będzie lek Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml (kod GTIN: 07613326029896), tj. lek, który zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* wyznacza podstawę limitu w tej grupie w momencie składania niniejszej analizy.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy (obejmujący okres od stycznia 2026 roku do końca grudnia 2027 roku) zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 2.2.

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

Dla parametrów, które w największym stopniu obciążone są niepewnością i mają potencjalnie największy wpływ na wyniki, przeprowadzono analizę wrażliwości oraz analizę scenariuszy.

## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu leku Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w programie lekowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją chorzy z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg.

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

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



Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi wprowadzenie do refundacji technologii wnioskowanej. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz płatnika publicznego i pacjenta.

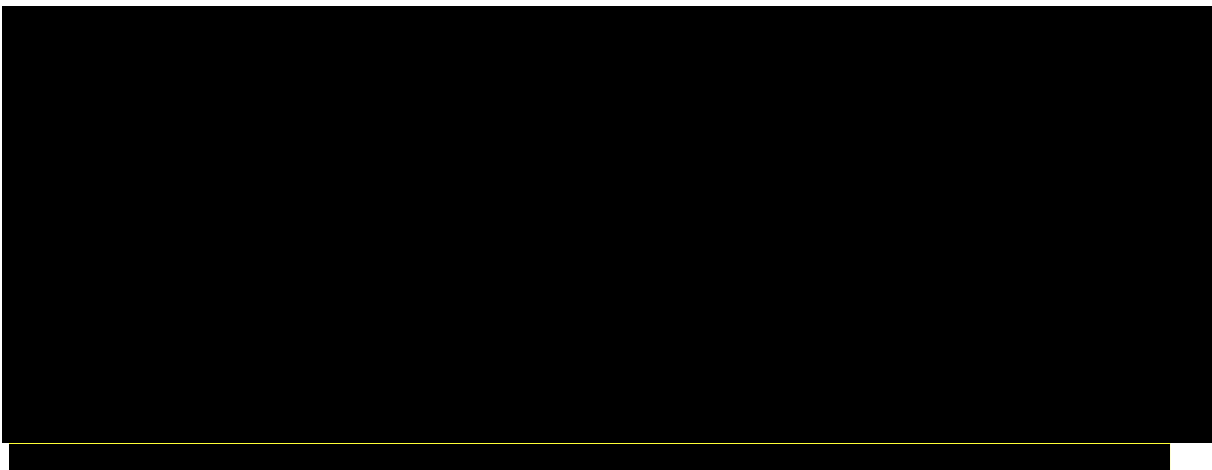
Analizę wykonano dla okresu od stycznia 2026 roku do końca grudnia 2027 roku, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową.

W analizie uwzględniono koszty leków oraz koszty związane z wydaniem leków jako koszty różniące rozpatrywane terapie.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej. Cenę zbytu netto rysdyplamu w postaci tabletek powlekanych otrzymano od Wnioskodawcy.

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

### Oszacowanie populacji



Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii będzie ukształtowanie się w Polsce nowej praktyki klinicznej leczenia chorych z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub posiadających od jednej do czterech kopii genu SMN2 w wieku  $\geq 2$  lat o masie ciała  $\geq 20$  kg. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli stosować leczenie przy pomocy leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych. W konsekwencji finansowanie leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych wpłynie na poprawę jakości życia chorych w analizowanym wskazaniu.



---

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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).

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna może mieć wpływ na organizację udzielania świadczeń, zmniejszając zapotrzebowanie na planowane wizyty ambulatoryjne w celu wydania leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych względem leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego.

---

## 8. Załączniki

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

Na podstawie art. 15 ust. 2. pkt 1 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, iż lek Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych spełnia kryteria kwalifikacji do już istniejącej, wspólnej grupy limitowej ze względu na obecność tej samej nazwy międzynarodowej, podobnego działania terapeutycznego i zbliżonego mechanizmu działania w porównaniu do już refundowanego w Polsce produktu leczniczego Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego znajdującego się w grupie limitowej 1254.0, Rysdyplam. W związku z powyższym należy stwierdzić, że lek Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych kwalifikuje się do już istniejącej grupy limitowej w ramach *Wykazu leków refundowanych*, a podstawę limitu refundacyjnego w tej grupie będzie wyznaczał, tak jak dotychczas, lek Evrysdi®, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 0,75 mg/ml, 1 but. po 80 ml (kod GTIN: 07613326029896).

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

Tabela 28.

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

| Nr   | Zadanie                                                                                                                                                                           | Tak/Nie/nie dotyczy  |
|------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|
| 1.   | Oszacowanie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                         | n/d                  |
| 1.1. | obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana                                                                                          | TAK, rozdział 2.5.1. |
| 1.2. | docelowej, wskazanej we wniosku                                                                                                                                                   | TAK, rozdział 2.5.2. |
| 1.3. | w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana                                                                                                                           | TAK, rozdział 2.5.3. |
| 1.4. | w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny         | TAK, rozdział 2.5.4. |
| 2.   | Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku | TAK, rozdział 2.8.   |

| Nr    | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | Tak/Nie/nie dotyczy                                                                      |
|-------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------|
| 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 lub decyzji o 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 decyzję o 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.                                                                     |
| 6.    | Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych                                                                                                                                                                                       | TAK, rozdział 2.8.2.                                                                     |
| 7.    | Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                               | TAK, rozdział 2.7.                                                                       |
| 8.    | Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                                        | TAK, rozdział 2.7.                                                                       |
| 8.1.  | wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu                                                                                                                                                                                                   | TAK, rozdział 8.1.                                                                       |
| 9.    | Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                     | TAK                                                                                      |
| 10.   | Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet                                                                                                                                                                                                                          | TAK                                                                                      |
| 11.   | Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                                                                                                         | TAK                                                                                      |
| 11.1. | w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane<br>(w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)                                                                                                                       | n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji |



| Nr    | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | Tak/Nie/nie dotyczy |
|-------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------|
| 12.   | <p>Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>⊕ z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> <li>⊕ bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>                                                                                                                                                                                         | TAK                 |
| 12.1. | <p>Wskazano dowody niespełnienia wymagań, o których mowa:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>⊕ w art. 15 ust. 2 pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> </ul> <p>Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>⊕ w art. 15 ust. 2. pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul> | TAK, rozdział 8.1.  |

[illegible]

|                                                                                                                               |    |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 9. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań ..... | 29 |
| Tabela 10. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne .....                                                             | 31 |
| Tabela 11. Charakterystyka kosztowa leku Evrysdi® w postaci tabletek powlekanych (PLN) .....                                  | 33 |

---

|                                                                                                                                                                                                                             |    |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 12. Charakterystyka kosztowa leku Evrysdi® w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego (PLN).....                                                                                                           | 33 |
| Tabela 13. Koszt leków w analizowanym wskazaniu, brany pod uwagę w analizie (PLN) ....                                                                                                                                      | 34 |
| Tabela 14. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w czasie roku (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka .....                               | 35 |
| Tabela 15. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka.....                                                | 36 |
| Tabela 16. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka – scenariusz istniejący ..... | 37 |
| Tabela 17. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka – scenariusz nowy .....       | 37 |
| Tabela 18. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) .....                                                                                      | 37 |
| Tabela 19. Koszty ponoszone na lek Evrysdi® w terapii rysdyplamem w postaci tabletek powlekanych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) .....                                                                      | 38 |
| Tabela 20. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) – scenariusz istniejący.....                                         | 38 |
| Tabela 21. Koszty ponoszone w terapii rysdyplamem w postaci proszku do sporządzania roztworu doustnego w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN) – scenariusz nowy .....                                              | 38 |
| Tabela 22. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....                                                                                                                                                     | 40 |
| Tabela 23. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS.....                                                                                              | 47 |

---

---

|                                                                                                                                                                                           |    |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 24. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego i<br>perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS.....                                                        | 47 |
| Tabela 25. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika<br>publicznego i z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS.....                                      | 49 |
| Tabela 26. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika<br>publicznego i z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS.....                                    | 50 |
| Tabela 27. Aspekty społeczne i etyczne .....                                                                                                                                              | 57 |
| Tabela 28. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z<br>minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w<br/>sprawie minimalnych wymagań</i> ..... | 63 |

---

---

## 10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....18



## 11. Bibliografia

| Publikacja/Źródło danych            | Referencje                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         |
|-------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Analiza ekonomiczna                 | Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych wskazany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni 5q. Analiza ekonomiczna, MAHTA 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| Analiza kliniczna                   | Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych wskazany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni 5q. Analiza kliniczna, MAHTA 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| Analiza problemu decyzyjnego        | Evrysdi® (rysdyplam) w postaci tabletek powlekanych wskazany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni 5q. Analiza problemu decyzyjnego, MAHTA 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |
| Callan 2018_ab                      | Callan A., Nallagangula T.K., Jawa S. i in., <i>PSY27 - SPINAL MUSCULAR ATROPHY: A REVIEW OF EPIDEMIOLOGY, BURDEN AND UNMET NEEDS</i> , Value in Health 2018, 21                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| ChPL Evrysdi®                       | Charakterystyka Produktu Leczniczego Evrysdi®                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| Dane dostarczone przez Wnioskodawcę | <ul style="list-style-type: none"> <li>☉ dane dostarczone przez Wnioskodawcę w zakresie ceny zbytu netto oraz instrumentu dzielenia ryzyka dla leku Evrysdi® w formie tabletek oraz proszku do sporządzania roztworu doustnego</li> <li>☉ [REDACTED]</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                    |
| Dane refundacyjne NFZ               | Centrala NFZ, Informacja o wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych (wrzesień 2022 r. – luty 2025 r.)                                                                                                                                                                                                                                     |
| EPAR 2025                           | European Medicines Agency Evrysdi®. Procedural steps taken and scientific information after the authorisation. <a href="https://www.ema.europa.eu/en/documents/procedural-steps-after/evrysdi-epar-procedural-steps-taken-scientific-information-after-authorisation-archive_en.pdf">https://www.ema.europa.eu/en/documents/procedural-steps-after/evrysdi-epar-procedural-steps-taken-scientific-information-after-authorisation-archive_en.pdf</a> (data dostępu: 17.07.2025 r.) |
| Gierlak-Wójcicka 2018               | Gierlak-Wójcicka Z., Burlewicz M., Potulska-Chromik A. i in., <i>Przegląd metod oceny funkcjonalnej u niesiedzących pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni (SMA)</i> , 2018, 27(54):11-17                                                                                                                                                                                                                                                                                          |
| Informator o umowach NFZ            | Informator o umowach NFZ, strona internetowa: <a href="https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search">https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search</a> (data dostępu: 17.07.2025 r.)                                                                                                                                                                                                                                                                                    |
| Keinath 2021                        | Keinath M.C., Prior D.E., Prior T.W., <i>Spinal Muscular Atrophy: Mutations, Testing, and Clinical Relevance</i> , Appl Clin Genet. 2021, 25;14:11-25                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| Majchrzak-Celińska 2020             | Majchrzak-Celińska A., Warych A., Szoszkiewicz M., <i>Rdzeniowy zanik mięśni – onasemnogene abeparvovec i inne opcje terapeutyczne</i> , Farmacja Polska 2020, 79 (1):10-17                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
| Messina 2020                        | Messina S., Sframeli M., <i>New Treatments in Spinal Muscular Atrophy: Positive Results and New Challenges</i> , Journal of clinical medicine 2020, 9(7):2222                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| Program lekowy B.102.FM             | Program lekowy „Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni” (ICD-10: G12.0, G12.1) regulowany załącznikiem B.102.FM do Wykazu leków refundowanych                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |

| 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                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
| Statystyki NFZ                                      | <a href="https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms">https://statystyki.nfz.gov.pl/DrugPrograms</a> (data dostępu: 17.07.2025 r.)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
| Szczerba 2018                                       | Szczerba A., Śliwa A., Żarowski M. i in., <i>Molekularne podłoże i terapia rdzeniowego zaniku mięśni</i> , Child Neurology 2018, 27(55):39-46                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      |
| 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                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
| WHO                                                 | <a href="https://www.whocc.no/atc_ddd_index/">https://www.whocc.no/atc_ddd_index/</a> (data dostępu: 17.07.2025 r.)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| Włodarczyk 2019                                     | Włodarczyk A., Gajewska E., <i>Przegląd metod oceny funkcjonalnej analizujących motorykę małą i dużą u chorych z rdzeniowym zanikiem mięśni</i> , Child Neurology 2019, 28(56):23-26                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
| Wykaz leków refundowanych                           | Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2025 r.                                                                                                                                                                                                                                                                                         |
| Wytyczne AOTMiT                                     | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| Yao 2021                                            | Yao M., Ma Y., Qian R. i in., <i>Quality of life of children with spinal muscular atrophy and their caregivers from the perspective of caregivers: a Chinese cross-sectional study</i> , Orphanet J Rare Dis 2021, 16:7                                                                                                                                                                                                                                                                            |
| 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                                                                                                                                                                                                                                                                                       |