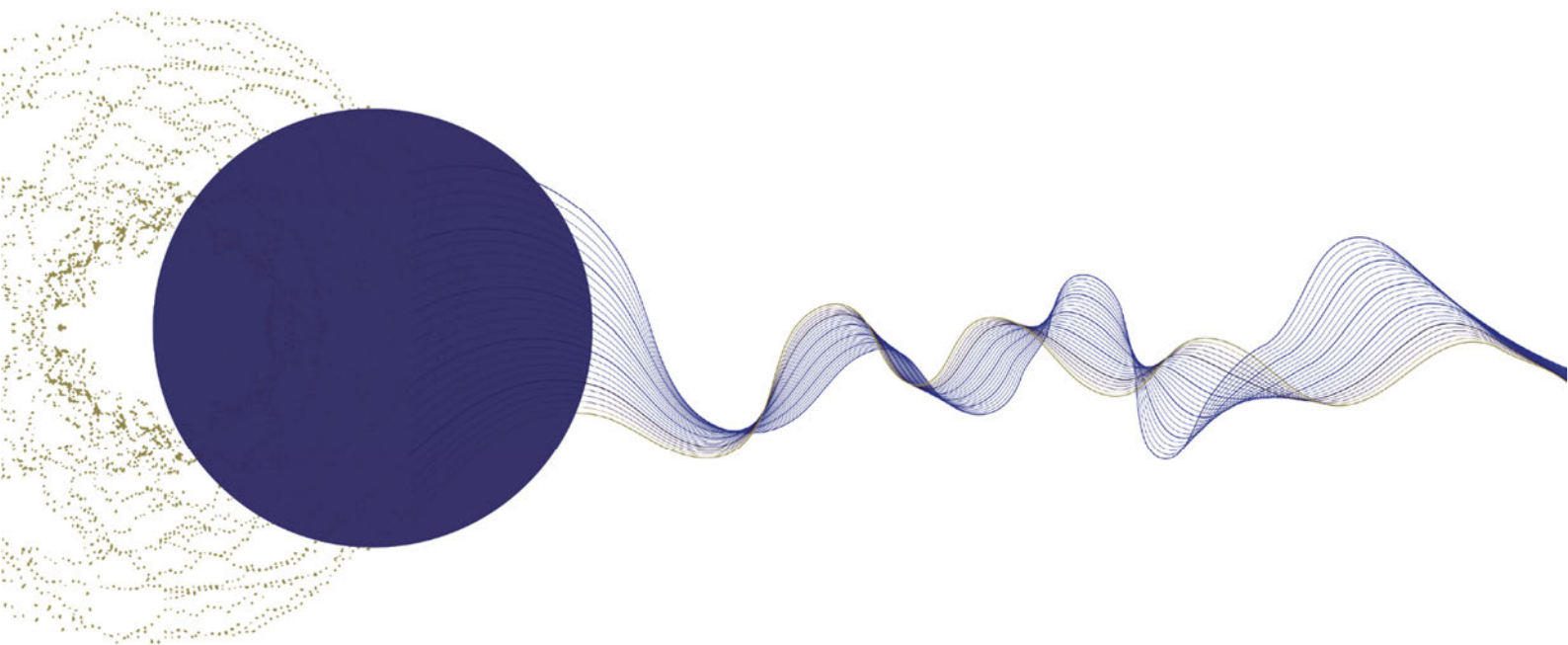




ANALIZA WPŁYWU NA BUDŻET

Daratumumab (Darzalex®) stosowany w schemacie DVRd w pierwszej linii leczenia szpiczaka plazmocytoowego u pacjentów niekwalifikujących się do ASCT

WERSJA 1.0,
LIPIEC 2025 ROKU, KRAKÓW



HTA Consulting

ul. Starowiślna 17/3, 31-038 Kraków

tel.: +48 (0) 12 421-88-32

hta.pl

Projekt zakończono: 31 lipca 2025 r.

Kierownik projektu: [REDACTED]

Autorzy:

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

Nazwiska ekspertów biorących udział w opracowaniu analizy do wiadomości AOTM i ewentualnych innych zainteresowanych urzędów dostępne u wykonawcy. Konflikt interesów ekspertów zewnętrznych nieznan.

Zgodnie z procedurami firmy HTA Consulting analizę poddano wewnętrznej kontroli jakości w następujących obszarach:

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach, jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.

ul. Łżecka 24

02-135 Warszawa

Zamawiającego reprezentowała:

[REDACTED]

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Wprowadzenie do analizy	9
1.1. Cel analizy	9
1.2. Stan aktualny	9
1.3. Kwalifikacja do grupy limitowej	15
1.4. Założenia analizy	16
2. Metodyka i dane źródłowe	18
2.1. Sposób przeprowadzenia analizy	18
2.2. Forma analizy	18
2.3. Perspektywa analizy	19
2.4. Horyzont czasowy	19
2.5. Populacja docelowa	19
2.6. Rozpowszechnienie opcji terapeutycznych w populacji docelowej	24
2.7. Zużycie zasobów i dane kliniczne	25
2.8. Koszty	26
2.9. Analiza wrażliwości	28
3. Wyniki analizy	30
3.1. Populacja docelowa	30
3.2. Scenariusz istniejący	30
3.3. Scenariusz nowy	31
3.4. Wydatki inkrementalne	32
3.5. Podsumowanie	32
4. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia	34
4.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	34
4.2. Aspekty etyczne i społeczne	34
5. Podsumowanie	36
6. Wnioski	37
7. Ograniczenia	38
8. Dyskusja	39
9. Bibliografia	40
10. Spis tabel	42
11. Zestawienie weryfikacyjne analizy ze względu na minimalne wymagania Ministerstwa Zdrowia	44
Aneks A.	46
A.1. Wyniki analizy w wariancie bez RSS	46
A.2. Analiza wrażliwości	47
A.3. Wyniki badania ankietowego	48

Indeks skrótów

AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ASCT	Autologiczne przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych / komórek macierzystych szpiku (<i>Autologous Stem Cell Transplantation</i>)
BIA	Analiza wpływu na budżet (<i>Budget Impact Analysis</i>)
ChPL	Charakterystyka produktu leczniczego
DARA	Daratumumab
DRd	Daratumumab, lenalidomid, deksametazon
DVRd	Daratumumab, bortezomib, lenalidomid, deksametazon
ECOG	Skala sprawności (<i>Eastern Cooperative Oncology Group</i>)
HR	Hazard względny (<i>Hazard Ratio</i>)
HTA	Ocena technologii medycznych <i>Health Technology Assessment</i>
KRN	Krajowy Rejestr Nowotworów
MM	Szpiczak plazmocytozy (<i>Multiple Myeloma</i>)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
OS	Przeżycie całkowite (<i>Overall Survival</i>)
PFS	Przeżycie wolne od progresji (<i>Progression Free Survival</i>)
PL	Program lekowy
Rd	Lenalidomid, deksametazon
RSS	Umowa podziału ryzyka (<i>Risk Sharing Scheme</i>)
TTD	Czas do przerwania leczenia (<i>Time to Treatment Discontinuation</i>)
VRd	Bortezomib, lenalidomid, deksametazon

Streszczenie

CEL

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) i pacjentów w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych daratumumabu (Darzalex®) stosowanego w ramach schematu DVRd w skojarzeniu z bortezomibem, lenalidomidem oraz deksametazonem w terapii dorosłych pacjentów z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytoowym (MM, ang. *multiple myeloma*), którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych (ASCT, ang. *autologous stem cell transplantation*) oraz spełniają kryteria wnioskowanego programu lekowego.

METODYKA

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej płatnika i pacjentów przy uwzględnieniu współpłacenia za leki. Uwzględniono 2-letni horyzont czasowy, począwszy od 1 stycznia 2026 roku. W analizie założono, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji refundacyjnej dla produktu Darzalex®, będzie on finansowany w ramach programu lekowego (PL) „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego”.

Populację docelową zdefiniowano zgodnie z projektem proponowanego PL jako dorosłych pacjentów z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytoowym, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepu komórek macierzystych (ASCT), spełniający kryteria wnioskowanego programu lekowego.

Liczebność populacji docelowej wyznaczono kompilując dane NFZ dotyczące liczby leczonych pacjentów z rozpoznaniem MM w latach 2014-2016 oraz dane KRN w zakresie dynamiki zmian zachorowalności na MM. W kolejnym kroku populację chorych na MM podzielono na dwie subpopulacje w zależności od możliwości przeprowadzenia procedury autologicznego przeszczepiania krwiotwórczych komórek macierzystych. Następnie zgodnie z kryteriami włączenia do proponowanego PL populację ograniczono do pacjentów ze stanem sprawności według skali ECOG 0-2.

Rozpowszechnienie schematów uwzględnionych w analizie określono na podstawie wyników badania ankietowego przeprowadzonego wśród ekspertów klinicznych, którzy oszacowali aktualne i przyszłe (tj. zakładające refundację schematu DVRd) rozpowszechnienie schematów stosowanych wśród pacjentów z populacji docelowej w Polsce.

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztowe:

- koszty leków,
- koszty premedykacji,
- koszty podania leków,
- koszty monitorowania,
- koszty kolejnych linii,
- koszty leczenia zdarzeń niepożądanych,
- koszty opieki terminalnej.

W analizie uwzględniono proponowane przez Zamawiającego zasady umowy podziału ryzyka.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

1. Wprowadzenie do analizy

1.1. Cel analizy

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) i pacjentów w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych daratumumabu (Darzalex®) stosowanego w ramach schematu DVRd w skojarzeniu z bortezomibem, lenalidomidem oraz deksametazonem w terapii dorosłych pacjentów z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytozy (MM, ang. *multiple myeloma*), którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych (ASCT, ang. *autologous stem cell transplantation*) oraz spełniają kryteria wnioskowanego programu lekowego.

Szczegółowy opis problemu zdrowotnego, interwencji ocenianej i technologii opcjonalnych przedstawiono w ramach analizy problemu decyzyjnego [1].

1.2. Stan aktualny

1.2.1. Aktualna praktyka kliniczna

Dyskusję dotyczącą komparatorów dla wnioskowanej interwencji (schematu DVRd), przeprowadzono na spotkaniu z polskimi ekspertami klinicznymi w dniu 5 czerwca 2025 roku [2]. Dyskusję dotyczącą komparatorów przeprowadzono w oparciu o wyniki wcześniej przeprowadzonego badania ankietowego wśród ekspertów biorących udział w Spotkaniu Doradczym. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

1.2.2. Aktualna liczebność populacji docelowej

Definicję populacji docelowej przedstawiono w rozdziale 2.5. Oszacowanie liczebności populacji docelowej w 2025 roku przeprowadzono na podstawie tej samej metodyki oraz źródeł danych, które wykorzystano w analizie BIA do prognozy liczebności populacji docelowej na lata 2026-2027.

Szczegółowe obliczenia dotyczące liczebności populacji docelowej zaprezentowano w rozdziale 2.5. Zgodnie z wynikami przeprowadzonych obliczeń aktualna liczba pacjentów z populacji docelowej wynosi 1 271 osób.

Tabela 1.
Liczebność populacji docelowej w 2025 roku

Parametr	Wartość
Aktualna liczebność populacji docelowej	1 271

1.2.3. Aktualne roczne wydatki w populacji docelowej

Aktualne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów z populacji docelowej zostały wyznaczone dla liczebności tej populacji w 2025 roku. Pozostałe dane populacyjne i kosztowe uwzględnione w obliczeniach oraz metodyka przeprowadzonych oszacowań jest analogiczna, jak w przypadku szacowania wydatków w scenariuszu istniejącym analizy BIA (szczegółowe dane przedstawiono w rozdziale 2).

Tabela 2.
Wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej w 2025 roku

Kategoria	Wydatki w 2025 r.
Koszty leków	1 271 000
w tym koszty DARA w schemacie DVRd	1 271 000
Koszty premedykacji	1 271 000
Koszty podania	1 271 000
Koszty monitorowania	1 271 000
Koszty kolejnych linii	1 271 000
Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych	1 271 000
Koszty opieki terminalnej	1 271 000
Łączne koszty	1 271 000

1.2.4. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Obecnie daratumumab (DARA) finansowany jest ze środków publicznych w ramach programu lekowego B.54. „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD 10 C90.0)” oraz B.145 „Leczenie chorych

na układową amyloidozę łańcuchów lekkich (AL)” [3]. Obecne wskazania refundowane obejmują leczenie DARA:

- w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem, w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznanym MM, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych,
- w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznanym MM, którzy kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych,
- w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub bortezomibem i deksametazonem, w leczeniu dorosłych pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię,
- w skojarzeniu z cyklofosfamidem, bortezomibem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną układową amyloidozą łańcuchów lekkich (AL).

Dane dotyczące realizacji programów lekowych pochodzące z Uchwały Rady NFZ Nr 6/2025/IV w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności NFZ za IV kwartał 2024 r. [4] wskazują, że w 2024 roku leczenie z zastosowaniem DARA w formie podskórnej otrzymało 3 213 pacjentów z MM oraz 46 pacjentów z amyloidozą, natomiast leczenie z zastosowaniem DARA w formie dożyłnej otrzymało 10 pacjentów z MM.

Tabela 3.
Liczba osób stosujących DARA w ramach PL B.54 oraz B.145

Substancja	Liczba osób objętych programem
DARA w formie podskórnej (PL B.54)	3 213
DARA w formie dożyłnej (PL B.54)	10
DARA w formie podskórnej (PL B.145)	46
Łącznie	3 269

1.2.5. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowania technologia może być stosowana

Zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego (ChPL) DARA [5] jest wskazany:

- w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub z bortezomibem, melfalanem i prednizonem, w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznanym szpiczakiem mnogim, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych,
- w skojarzeniu z bortezomibem, talidomidem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznanym szpiczakiem mnogim, którzy kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych,

- w skojarzeniu z bortezomibem, lenalidomidem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznany szpiczakiem mnogim,
- w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub bortezomibem i deksametazonem, w leczeniu dorosłych pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię,
- w monoterapii u dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i u których nastąpiła progresja choroby w trakcie ostatniego leczenia,
- w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej jedną linię leczenia obejmującą inhibitor proteasomu i lenalidomid i wykazali oporność na leczenie lenalidomidem, lub którzy otrzymali co najmniej dwie wcześniejsze terapie zawierające lenalidomid i inhibitor proteasomu i wykazali progresję choroby w trakcie lub po ostatniej terapii,
- w skojarzeniu z cyklofosfamidem, bortezomibem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną układową amyloidozą łańcuchów lekkich (AL),
- w monoterapii w leczeniu dorosłych pacjentów z tłącym się szpiczakiem mnogim, u których występuje wysokie ryzyko rozwoju szpiczaka mnogiego.

Wskazania rejestracyjne są szersze niż zakres populacji docelowej w przeprowadzonej analizie, dlatego odrębnie przeprowadzono uproszczone oszacowanie liczby pacjentów spełniających wskazania do stosowania preparatu DARA zawarte w ChPL.

Oszacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których DARA może być stosowany, dotyczy roku 2025.

DOROŚLI PACJENCI Z NOWO ROZPOZNANYM SZPICZAKIEM MNOGIM, KTÓRZY NIE KWALIFIKUJĄ SIĘ DO AUTOLOGICZNEGO PRZESZCZEPIENIA KOMÓREK MACIERZYSTYCH

Populacja dorosłych pacjentów z nowo rozpoznany MM, którzy nie kwalifikują się do ASCT to populacja docelowa niniejszej analizy, w związku z czym odstępiono od opisu oszacowania w niniejszym rozdziale. Szczegółowe oszacowanie populacji docelowej znajduje się w rozdz. 1.2.2 i 2.5. Oszacowana liczebność populacji dla wnioskowanego wskazania wynosi [REDAKTOWANO] pacjentów.

DOROŚLI PACJENCI Z NOWO ROZPOZNANYM SZPICZAKIEM MNOGIM, KTÓRZY KWALIFIKUJĄ SIĘ DO AUTOLOGICZNEGO PRZESZCZEPIENIA KOMÓREK MACIERZYSTYCH

Liczbę nowo zdiagnozowanych pacjentów z nowo rozpoznany MM, którzy kwalifikują się do ASCT oszacowano analogicznie jak w przypadku szacowania populacji docelowej niniejszej analizy (rozdz. 2.5). Liczba nowych pacjentów z MM w 2025 r. zgodnie z oszacowaniem, wynosić będzie 2 137 osób.

Ponadto u 30% pacjentów przeprowadzana procedura ASCT. W poniższej tabeli przedstawiono oszacowaną liczebność populacji z wykorzystaniem powyższych danych.

Tabela 4.
Liczebność populacji pacjentów z noworozpoznanym MM, którzy kwalifikują się do ASCT

Parametr	2025	Źródło
Liczba nowo rozpoznanych pacjentów leczonych chemioterapią dedykowaną MM	2 137	NFZ, KRN (rozdz. 2.5.1)
Odsetek pacjentów leczonych bez zastosowania ASCT	30%	NFZ (rozdz. 2.5.2)
Liczba pacjentów leczonych bez zastosowania ASCT	641	-

DOROŚLI PACJENCI ZE SZPICZAKIEM MNOGIM, KTÓRZY OTRZYMALI CO NAJMNIEJ JEDNĄ WCZEŚNIEJSZĄ TERAPIĘ

W celu oszacowania liczebności pacjentów z MM, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą linię leczenia, określono najpierw liczbę nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM w oparciu o dane NFZ i Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN). Następnie uwzględniono odsetek pacjentów, u których przeprowadzana jest procedura ASCT na podstawie Raportu NFZ. W kolejnym kroku określono odsetki pacjentów przechodzących na kolejne linię leczenia w oparciu o dane literaturowe pochodzące z zagranicznej praktyki klinicznej.

W tabeli poniżej przedstawiono liczebność opisywanej populacji.

Tabela 5.
Liczebność populacji dorosłych pacjentów z MM, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą linię leczenia

Parametr	Liczba osób	Źródło
Nowo zdiagnozowani pacjenci leczeni chemioterapią dedykowaną MM	2 137	Prognoza na podstawie danych NFZ
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 2. linii	55%	Dane literaturowe – Yong 2016 [6], Coriu 2018 [7], Hajek 2018 [8], Bruno 2020 [9]
Liczba pacjentów leczonych w 2. linii leczenia	1 175	
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 3. linii	57%	Dane literaturowe – Yong 2016, Coriu 2018, Hajek 2018, Bruno 2020
Liczba pacjentów leczonych w 3. linii	670	
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 4. linii	41%	Dane literaturowe – Yong 2016, Coriu 2018, Hajek 2018, Bruno 2020
Liczba pacjentów leczonych w 4. linii	275	
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 5. linii	40%	Dane literaturowe – Yong 2016, Coriu 2018, Hajek 2018, Bruno 2020
Liczba pacjentów leczonych w 5. linii	110	
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 6. linii	41%	Dane literaturowe – Yong 2016, Coriu 2018, Hajek 2018, Bruno 2020
Liczba pacjentów leczonych w 6. linii	45	
Odsetek pacjentów kontynuujących leczenie w 7. linii	46%	Dane literaturowe – Yong 2016, Coriu 2018, Hajek 2018, Bruno 2020
Liczba pacjentów leczonych w 7. linii	21	
Liczebność populacji	2 295	Suma liczb pacjentów w poszczególnych liniach

Powyższe oszacowanie dotyczy stosowania DARA w skojarzeniu z lenalidomidem i deksametazonem lub bortezomibem i deksametazonem, w leczeniu dorosłych pacjentów z MM, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię.

Oszacowana liczba pacjentów zawiera następujące subpopulacje będące wskazaniami dla DARA:

- monoterapia u dorosłych pacjentów z nawrotowym i opornym na leczenie MM, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i u których nastąpiła progresja choroby w trakcie ostatniego leczenia,
- w skojarzeniu z pomalidomidem i deksametazonem w leczeniu dorosłych pacjentów z MM, którzy otrzymali wcześniej jedną linię leczenia obejmującą inhibitor proteasomu i lenalidomid i wykazali oporność na leczenie lenalidomidem, lub którzy otrzymali co najmniej dwie wcześniejsze terapie zawierające lenalidomid i inhibitor proteasomu i wykazali progresję choroby w trakcie lub po ostatniej terapii.

W konsekwencji odstąpiono od szacowania liczebności wyżej wymienionych dwóch subpopulacji.

DOROŚLI PACJENCI Z NOWO ROZPOZNANĄ UKŁADOWĄ AMYLOIDOZĄ ŁAŃCUCHÓW LEKKICH (AL)

Zgodnie z informacjami zawartymi w Internie Szczeklika z 2021 amyloidozą AL jest chorobą rzadką, której roczna zapadalność wynosi 1/100 000 osób.

Liczebność populacji dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną układową amyloidozą AL oszacowano w oparciu o zapadalność amyloidozy pierwotnej oraz o liczebność populacji Polski (stan na czerwiec 2023 r.).

Tabela 6.
Liczebność populacji dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną układową amyloidozą AL

Parametr	Wartość	Liczba osób	Źródło
Liczebność populacji Polski	-	37 636 508	Rocznik Demograficzny 2024 [10]
Częstość występowania amyloidozy AL	1/100 000	377	Interna Szczeklika 2021
Liczebność populacji	-	377	-

DOROŚLI PACJENCI Z TLĄCYM SIĘ SZPICZAKIEM MNOGIM, U KTÓRYCH WYSTĘPUJE WYSOKIE RYZYKO ROZWOJU SZPICZAKA MNOGIEGO

Zidentyfikowano publikację Kristinnson 2013 [11], w której raportowano zapadalność na tlącego się MM wysokiego ryzyka na poziomie 0,14 na 100 tys.

Liczebność populacji dorosłych pacjentów z nowo rozpoznanym tlącym się MM wysokiego ryzyka oszacowano w oparciu o zapadalność oraz o liczebność populacji Polski (stan na czerwiec 2023 r.).

Tabela 7.

Liczebność populacji dorosłych pacjentów z tłącym się szpiczakiem mnogim, u których występuje wysokie ryzyko rozwoju szpiczaka mnogiego

Parametr	Wartość	Liczba osób	Źródło
Liczebność populacji Polski	-	37 636 508	Rocznik Demograficzny 2024 [10]
Liczba nowych pacjentów z tłącym się MM wysokiego ryzyka	0,14/100 000	53	Kristinnson 2013
Liczebność populacji	-	53	-

PODSUMOWANIE

W poniższej tabeli podsumowano liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Tabela 8.

Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Wskazanie rejestracyjne	Liczebność populacji
Dorośli pacjenci z nowo rozpoznanym szpiczakiem mnogim, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych	■
Dorośli pacjenci z nowo rozpoznanym szpiczakiem mnogim, którzy kwalifikują się do autologicznego przeszczepienia komórek macierzystych	641
Dorośli pacjenci ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą terapię	
Dorośli pacjenci z nawrotowym i opornym na leczenie szpiczakiem mnogim, których wcześniejsze leczenie obejmowało inhibitor proteasomu i lek immunomodulujący i u których nastąpiła progresja choroby w trakcie ostatniego leczenia	2 295
Dorośli pacjenci ze szpiczakiem mnogim, którzy otrzymali wcześniej jedną linię leczenia obejmującą inhibitor proteasomu i lenalidomid i wykazali oporność na leczenie lenalidomidem, lub którzy otrzymali co najmniej dwie wcześniejsze terapie zawierające lenalidomid i inhibitor proteasomu i wykazali progresję choroby w trakcie lub po ostatniej terapii	
Dorośli pacjenci z nowo rozpoznaną układową amyloidozą AL	377
Dorośli pacjenci z tłącym się szpiczakiem mnogim, u których występuje wysokie ryzyko rozwoju szpiczaka mnogiego	53
Łącznie	■

1.3. Kwalifikacja do grupy limitowej

Obecnie daratumumab jest finansowany w Polsce w ramach programu lekowego B.54 „Leczenie chorych na szpiczaka plazmocytoowego (ICD 10 C90.0)” [3].

Zgodnie z brzmieniem art. 15 ust. 2 ustawy refundacyjnej z dnia 12 maja 2011 roku do grupy limitowej kwalifikuje się lek posiadający tę samą nazwę międzynarodową albo inne nazwy międzynarodowe, ale podobne działanie terapeutyczne i zbliżony mechanizm działania [12].

Nazwa grupy limitowej 1187.0, Daratumumab, do której należy daratumumab nie określa szczegółowego wskazania, którego dotyczy. W związku z tym założono, że daratumumab

analizowanym wskazaniu również będzie refundowany w ramach istniejącej już grupy limitowej 1187.0, Daratumumab. Przyjęcie powyższego założenia jest zgodne ze stosowaną praktyką w tym zakresie.

1.4. Założenia analizy

Analizę przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym, zakładając rozszerzenie finansowania preparatu Darzalex® zgodnie z wnioskowanym wskazaniem w ramach proponowanego programu lekowego począwszy od 1 stycznia 2026 r. Długość horyzontu czasowego analizy jest zgodna z wytycznymi AOTMiT [13].

Prognozę liczebności populacji docelowej w kolejnych latach analizy przeprowadzono w oparciu o dane NFZ dotyczące liczby leczonych pacjentów z rozpoznaniem MM w latach 2014-2016, które w pierwszym kroku ekstrapolowano na kolejne lata analizy na podstawie dynamiki zmian zachorowalności na MM w Polsce określonej w oparciu o dane Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) z lat 1999-2022. W kolejnym kroku populację chorych na MM leczonych w Polsce podzielono na dwie subpopulacje w zależności od przeprowadzenia ASCT. Następnie zgodnie z definicją populacji docelowej dla wnioskowanego wskazania populację ograniczono do pacjentów ze stanem sprawności ECOG 0-2. Poprawność oszacowania populacji docelowej zgodnie z metodyką opisaną powyżej została potwierdzona przez ekspertów klinicznych podczas spotkania z polskimi ekspertami klinicznymi w dniu 5 czerwca 2025 roku [2].

Rozpowszechnienie schematów uwzględnionych w analizie określono na podstawie wyników badania ankietowego przeprowadzonego wśród ekspertów klinicznych oraz późniejszego konsensusu, w ramach których oszacowane zostało aktualne i przyszłe (tj. zakładające refundację schematu DVRd) rozpowszechnienie schematów stosowanych wśród pacjentów z MM w Polsce.

Przebieg leczenia określono w oparciu o model wykorzystany w analizie ekonomicznej.

W poniższej tabeli (Tabela 9) znajduje się zestawienie źródeł danych wykorzystanych w opracowanej analizie.

Tabela 9.
Zestawienie źródeł danych wykorzystanych w niniejszej analizie

Parametr	Źródło	Referencja
Dane populacyjne	Liczba nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM rozpoczynających leczenie	Raport NFZ „Szpiczak plazmocytowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego”, Dane KRN
	Odsetek pacjentów niekwalifikujących się do ASCT	Raport NFZ „Szpiczak plazmocytowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego”
	Odsetek pacjentów z ECOG 0-2	Konsensus ekspertów
	Scenariusz istniejący	
		Rozdz. 2.5.1 [14, 15]
		Rozdz. 2.5.2 [14]
		Rozdz. 2.5.3 [2]
		Rozdz. 2.6 [2]

Parametr		Źródło	Referencja
Udziały opcji terapeutycznych	Scenariusz nowy	Badanie ankietowe, konsensus ekspertów	
Zużycie zasobów/przepływ pacjentów między stanami zdrowia	-	Analiza ekonomiczna	Rozdz. 2.7 [16]
Koszty	Koszt DARA	Dane od Zamawiającego	Rozdz. 2.8.1
	Pozostałe koszty	Analiza ekonomiczna	Rozdz. 2.8.2 i 2.8.3 [17]

2. Metodyka i dane źródłowe

2.1. Sposób przeprowadzenia analizy

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

- Zdefiniowano populację docelową dla DARA (Darzalex®) stosowanego w ramach schematu DVRd jako dorosłych pacjentów z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytozy, którzy nie kwalifikują się do ASCT, spełniający kryteria wnioskowanego programu lekowego.
- Na podstawie dostępnych źródeł danych przeprowadzono prognozę liczebności populacji docelowej w kolejnych 2 latach, począwszy od początku 2026 roku.
- Na podstawie przeprowadzonych ankiet oszacowano rozpowszechnienie DARA w schemacie DVRd oraz pozostałych interwencji uwzględnionych w analizie w populacji docelowej.
- Określono schematy dawkowania, koszty jednostkowe uwzględnionych substancji, koszty premedykacji, koszty podania leków, koszty monitorowania, koszty kolejnych linii, koszty leczenia zdarzeń niepożądanych oraz koszty opieki terminalnej.
- Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w latach 2026–2027:
 - dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku utrzymania aktualnego statusu refundacyjnego, tj. w przypadku braku finansowania ze środków publicznych DARA w schemacie DVRd w populacji docelowej;
 - dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu DARA w schemacie DVRd ze środków publicznych w populacji docelowej.
- Wyznaczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę w wydatkach pomiędzy scenariuszem nowym a scenariuszem istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne są ujemne, oznacza to oszczędności dla płatnika. W przypadku oszacowania dodatnich wydatków inkrementalnych, oznaczają one dodatkowe nakłady finansowe płatnika.
- Przeprowadzono analizę wrażliwości dla zmiennych, które w największym stopniu wpływają na wyniki analizy wpływu na budżet oraz takich, których oszacowanie charakteryzują się największą niepewnością. Dla każdej zmiennej zdefiniowano wariant oznaczony literą (A, B, C, D). W obrębie danego wariantu badany parametr podlegał zmianie, przyjmując wartości: podstawową oznaczoną cyfrą 0 (np. wariant A0) oraz wartości uwzględnione w analizie wrażliwości oznaczone cyframi 1 i 2 (np. wariant A1 i A2).

2.2. Forma analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie Microsoft Excel, umożliwiające obliczenie prognozowanych

wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń. Arkusz kalkulacyjny umożliwia również przeprowadzenie jednokierunkowych i wielokierunkowych analiz wrażliwości.

2.3. Perspektywa analizy

Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu [18], analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej płatnika i pacjentów, przy uwzględnieniu kosztów współpłacenia za leki.

Kosztami różnicującymi wyniki z perspektywy NFZ oraz łącznej perspektywy NFZ i pacjentów przy uwzględnieniu współpłacenia za leki są koszty deksametazonu i cyklofosfamidę stosowanych w ramach porównywanych interwencji oraz w kolejnych liniach leczenia oraz koszty leków stosowanych w premedykacji. Uwzględnione koszty pacjentów stanowią znikomą część całkowitych kosztów NFZ ponoszonych na leczenie analizowanej jednostki chorobowej i w związku z tym wyniki z łącznej perspektywy płatnika publicznego i pacjentów przy uwzględnieniu współpłacenia za leki należy uznać za wyniki dodatkowe. Wyniki z perspektywy NFZ + pacjent przedstawiono wyłącznie jako wariant analizy wrażliwości (scenariusz C).

2.4. Horyzont czasowy

Analizę opracowano w 2-letnim horyzoncie czasowym przy założeniu, że DARA będzie finansowany ze środków publicznych dla pacjentów z populacji docelowej w ramach proponowanego programu lekowego począwszy od 1 stycznia 2026 roku. Zgodnie z wytycznymi AOTMiT horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi lub co najmniej w ciągu 2 lat od wprowadzenia nowej technologii. Dodatkowo, zgodnie z ustawą refundacyjną z dnia 12 maja 2011 roku, pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata [12].

2.5. Populacja docelowa

Populację docelową w analizie stanowią dorośli pacjenci z uprzednio nieleczonym szpiczakiem plazmocytoowym, którzy nie kwalifikują się do autologicznego przeszczepu komórek macierzystych (ASCT), spełniający kryteria wnioskowanego programu lekowego.

W celu oszacowania liczebności populacji pacjentów w Polsce spełniających powyższe kryteria, poszukiwano polskich źródeł danych dotyczących MM. Przeszukano strony internetowe AOTMiT, Krajowego Rejestru Nowotworów (KRN) oraz NFZ (Zdrowe dane).

W analizie wykorzystano następujące źródła danych do wyznaczenia liczby pacjentów spełniających kryteria włączenia do populacji docelowej:

- dane NFZ przedstawione w raporcie „Szpiczak plazmocytowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego” [14] dotyczące liczby pacjentów leczonych rocznie z zastosowaniem chemioterapii dedykowanej MM oraz odsetka pacjentów leczonych z zastosowaniem ASCT,
- dane KRN w zakresie dynamiki zmian zachorowalności na MM w Polsce [15],
- opinie ekspertów klinicznych wyrażone podczas Spotkania Doradczego, które odbyło się w dniu 5 czerwca 2025 roku.

Dane odnalezione w powyższych źródłach pozwoliły na określenie liczby pacjentów kwalifikujących się do leczenia farmakologicznego, do której zastosowano odsetek pacjentów niekwalifikujących się do terapii z zastosowaniem ASCT.

2.5.1. Nowo rozpoznani pacjenci z MM kwalifikujący się do leczenia farmakologicznego

Oszacowanie populacji przeprowadzono w oparciu o zestawienie liczby nowo zdiagnozowanych chorych na MM zakwalifikowanych do leczenia.

Dane dotyczące nowo rozpoznanych pacjentów z MM odnaleziono w raporcie NFZ „Szpiczak plazmocytowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego” oraz w bazie KRN. Pomiędzy wspomnianymi źródłami danych zauważyć można znaczną różnicę w raportowanych przypadkach (w KRN o ok. 1000 osób/rok mniej niż w raporcie NFZ). Dane KRN są najprawdopodobniej zaniżone z powodu niedorejestrowania [19–21]. Biorąc pod uwagę jakość danych KRN oszacowanie przeprowadzono w oparciu o dane z raportu NFZ dotyczące pacjentów nowo zdiagnozowanych podejmujących leczenie farmakologiczne. Warto jednak zauważyć, że dane te obejmują okres 3 lat tj. 2014-2016, w związku z czym przeprowadzenie prognozy i oszacowania wyłącznie na ich podstawie nie byłoby zasadne i wystarczające.

W raporcie NFZ analizie poddano świadczenia udzielone pacjentom, u których w 2016 r. po raz pierwszy od 2008 r. sprawozdano wykonanie świadczenia z powodu rozpoznania głównego C90 (Szpiczak mnogi i nowotwory złośliwe z komórek plazmatycznych) wg ICD-10 (wraz z rozszerzeniami), i którzy w roku 2016 mieli co najmniej dwukrotnie sprawozdane udzielenie świadczenia zdrowotnego z powodu MM. Autorzy raportu przedstawili również informacje o pacjentach z rozpoznaniem MM w latach 2014-2016 i zastosowanych metodach leczenia (chemioterapia dedykowana MM oraz przeszczep komórek

macierzystych). Dane dotyczące liczby pacjentów, którzy podjęli leczenie z zastosowaniem chemioterapii dedykowanej MM zestawiono w tabeli poniżej.

Tabela 10.

Liczba pacjentów z rozpoznaniem MM oraz pacjentów leczonych z zastosowaniem chemioterapii

Parametr	2014	2015	2016
Liczba nowo rozpoznanych pacjentów	2 340	2 570	2 582
Liczba pacjentów leczonych chemioterapią dedykowaną MM wśród nowo rozpoznanych pacjentów	1 290	1 480	1 531

W celu przeprowadzenia prognozy liczby nowo zdiagnozowanych pacjentów rozpoczynających leczenie wykorzystano dane KRN dot. zapadalności na MM. Na podstawie tych wartości wyznaczono długookresowy wzrost zachorowalności w trzech wariantach:

- średni przyrost liczby zachorowań na podstawie danych z okresu 1999-2022 (pełny okres, dla którego dostępne są dane),
- średni przyrost liczby zachorowań na podstawie danych z okresu 1999-2022, z wyłączeniem danych za lata 2020-2021 (okres pandemii COVID-19),
- średni przyrost liczby zachorowań na podstawie danych z okresu 2018-2022 (dane z ostatnich 5 lat).

W analizie podstawowej uwzględniono przyrost w oparciu o pełny dostępny okres (1999-2022). Wzrost zachorowalności wyznaczony na podstawie danych KRN w tym okresie wyniósł 3,8%.

Tabela 11.

Średnia zmiana zachorowalności MM na podstawie danych KRN

Rok	Zachorowania	Zmiana w stosunku do roku poprzedniego
1999	888	-
2000	970	9,2%
2001	999	3,0%
2002	1 120	12,1%
2003	1 172	4,6%
2004	1 240	5,8%
2005	1 347	8,6%
2006	1 273	-5,5%
2007	1 317	3,5%
2008	1 405	6,7%
2009	1 364	-2,9%
2010	1 370	0,4%
2011	1 436	4,8%
2012	1 520	5,8%
2013	1 616	6,3%
2014	1 609	-0,4%
2015	1 658	3,0%
2016	1 589	-4,2%

Rok	Zachorowania	Zmiana w stosunku do roku poprzedniego
2017	1 723	8,4%
2018	1 745	1,3%
2019	1 844	5,7%
2020	1 560	-15,4%
2021	1 816	16,4%
2022	1 986	9,4%
Średnia (1999-2022) – analiza podstawowa		3,77%
Średnia (1999-2022, bez okresu 2020-2021) – scenariusz A2		4,08%
Średnia (2018-2022) – scenariusz A1		3,46%

Na podstawie powyższych danych przeprowadzono prognozę liczby nowo rozpoznanych pacjentów oraz pacjentów leczonych chemioterapią (Tabela 12).

Tabela 12.
Prognoza liczby nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM rozpoczynających leczenie

Rok	Liczba pacjentów rozpoczynających leczenie	Źródło
2014	1 290	Raport NFZ (Tabela 10)
2015	1 480	
2016	1 531	
2017	1 589	
2018	1 649	
2019	1 711	Prognoza danych w oparciu o wzrost zachorowalności wyznaczonego na podst. danych KRN – 3,8% rocznie (Tabela 11)
2020	1 775	
2021	1 842	
2022	1 912	
2023	1 984	
2024	2 059	
2025	2 137	
2026	2 217	
2027	2 301	

2.5.2. Odsetek pacjentów, u których nie przeprowadza się procedury ASCT

W kolejnym kroku określono liczbę pacjentów, u których nie jest przeprowadzona procedura ASCT. Odnaleziono raport NFZ „Szpiczak plazmocytoowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego”, gdzie przedstawiono dane dotyczące liczby pacjentów, którzy podjęli leczenie z zastosowaniem chemioterapii dedykowanej MM oraz pacjentów, u których wykonano ASCT. Dane te wskazują, że ASCT nie jest wykonywane u ok. 70% spośród nowo rozpoznanych pacjentów leczonych

z zastosowaniem chemioterapii. Odsetek ten potwierdzono z ekspertami klinicznymi podczas Spotkania Doradczego.

Tabela 13.
Liczba pacjentów leczonych z zastosowaniem chemioterapii/ASCT

Parametr	2014	2015	2016
Liczba pacjentów leczonych chemioterapią dedykowaną MM wśród nowo rozpoznanych pacjentów	1 290	1 480	1 531
Liczba (odsetek) pacjentów z wykonanym ASCT wśród leczonych pacjentów z MM	350 (27%)	410 (28%)	460 (30%)
Odsetek pacjentów bez ASCT wśród leczonych pacjentów z MM	73%	72%	70%

Uwzględnienie tego odsetka w odniesieniu do prognozowanej liczby nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM rozpoczynających leczenie pozwala na oszacowanie liczby pacjentów niekwalifikujących się do ASCT na poziomie 1 552 pacjentów w 2026 r. i 1 611 pacjentów w 2027 r. (Tabela 14).

Tabela 14.
Liczba nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM, niekwalifikujących się do ASCT – prognoza na podstawie danych z raportu NFZ

Parametr	2025	2026	2027
Liczba nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM rozpoczynających leczenie	2 137	2 217	2 301
Odsetek pacjentów bez ASCT wśród leczonych pacjentów z MM		70%	
Liczba (odsetek) pacjentów bez wykonanego ASCT	1 496	1 552	1 611

2.5.3. Status ECOG 0–2

Zgodnie z kryteriami włączenia do proponowanego programu lekowego, aby pacjent mógł zostać włączony do leczenia schematem DVRd, musi wykazać stan sprawności 0-2 w skali ECOG. Wartość dla tego parametru została ustalona przez ekspertów klinicznych podczas spotkania doradczego, które odbyło się 5 czerwca 2025 roku. Odsetek pacjentów ze stanem sprawności ECOG 0-2 wynosi [16].

Tabela 15.
Odsetek pacjentów z ECOG 0-2 – dane przyjęte w analizie

Parametr	Wartość	Źródło
Odsetek pacjentów z ECOG 0-2		Opinia ekspertów

2.5.4. Podsumowanie

W poniższej tabeli podsumowano warianty oszacowania populacji docelowej.

2.7. Zużycie zasobów i dane kliniczne

Przebieg leczenia określono w oparciu o model wykorzystany w analizie ekonomicznej [17]. Na podstawie odsetków pacjentów w poszczególnych stanach zdrowia i przy wykorzystaniu czasu trwania terapii określono zużycie zasobów w niniejszej analizie. Nie uwzględniono przy tym w większości przypadków kosztów jednostkowych dla kategorii takich jak podanie, monitorowanie itp. oraz krzywych przeżycia, ale zaczerpnięto wyniki stanowiące średnie koszty generowane przez pacjenta w kolejnych cyklach w modelu ekonomicznym (a więc wartości stanowiące wypadkową stosownych krzywych przeżycia oraz kosztów jednostkowych). Wyjątkiem są koszty DARA w schemacie DVRd, które uwzględnione są w formie kosztów jednostkowych i aplikowane do obliczeń z uwzględnieniem dawkowania oraz krzywej czasu trwania leczenia zaczerpniętych z modelu ekonomicznego (podejście takie zastosowano w celu umożliwienia zmiany cen leków z poziomu pliku obliczeniowego dla analizy wpływu na budżet).

W następnym kroku wyznaczone koszty na pacjenta na cykl odniesiono do oszacowanej liczebności populacji stosujących poszczególne interwencje. Założono przy tym, że pacjenci będą włączani do leczenia równomiernie w ciągu roku (tj. stosowne roczne liczby pacjentów rozpoczynających leczenie zostały podzielone na 52 równoliczne grupy, ze względu na tygodniową długość cyklu przyjętego do określenia kosztów). Wyznaczono w ten sposób wydatki ponoszone w całej populacji w kolejnych cyklach, które następnie zsumowano oddzielnie dla kolejnych lat analizy w ramach poszczególnych kategorii kosztowych.

Biorąc pod uwagę niewielkie różnice w przebiegu krzywych w przyjętym horyzoncie czasowym analizy oraz ich minimalny wpływ na inkrementalne różnice w kosztach, można wnioskować, że dobór krzywych ma pomijalny wpływ na wyniki analizy i w konsekwencji w niniejszej analizie odstąpiono od testowania krzywych w ramach analizy wrażliwości.

Ponadto w ramach analizy BIA uwzględniono schemat Rd, który nie będzie zastępowany przez wnioskowany schemat leczenia (w celu określenia wydatków płatnika publicznego w stanie istniejącym). W tym celu uwzględniono dane z modelu wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Przebieg leczenia pacjentów stosujących schemat Rd określono z wykorzystaniem modelu ekonomicznego w oparciu o krzywe przeżycia wolnego od progresji (PFS, ang. *progression-free survival*), przeżycia całkowitego (OS, ang. *overall survival*) i czasu trwania leczenia (TTD, ang. *time to treatment discontinuation*) wyznaczone w oparciu o wartości hazardu względnego (HR, ang. *hazard ratio*) dla schematu Rd określone względem schematu DVRd, zgodnie z wynikami porównania pośredniego z dostosowaniem przeprowadzonego przez autorów globalnego modelu – [REDACTED]

[REDACTED] Pozostałe założenia odnośnie do kosztów związanych z terapią Rd przyjęto w sposób analogiczny, jak dla VRd (ze względu na jednakowy sposób finansowania – w katalogu chemioterapii).

Należy mieć na uwadze, że DVRd będzie zastępował jedynie schematy VRd i DRd, zatem wydatki ponoszone na schemat Rd stanowiąc będą koszt nieróżnicujący i zostały oszacowane jedynie w celu przedstawienia pełnych wydatków ponoszonych przez płatnika w populacji docelowej. W konsekwencji przyjęte założenia odnośnie do schematu Rd nie mają wpływu na wyniki analizy.

2.8. Koszty

2.8.1. Koszty terapii lekiem Darzalex® w schemacie DVRd i DRd

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[illegible]

2.8.2. Koszty pozostałych leków

Koszty pozostałych leków stosowanych w ramieniu interwencji i komparatorów oraz w kolejnych liniach leczenia określono na podstawie obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2025 r. [3], komunikatu DGL [22], danych z przetargów [23] oraz danych o kwocie refundacji i liczbie sprzedanych opakowań zaczerpniętych z serwisu IkarPro [23].

Podsumowanie kosztów wykorzystanych w analizie przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 22.
Koszt pozostałych leków uwzględnionych w analizie

Substancja czynna	Koszt NFZ /mg	Koszt NFZ + pacjent /mg	Źródło
Bortezomib	27,42 zł	27,42 zł	Komunikat DGL [22]
Lenalidomid	0,65 zł	0,65 zł	Komunikat DGL [22]
Pomalidomid	159,12 zł	159,12 zł	Komunikat DGL [22]
Deksametazon	0,70 zł	0,81 zł	Obwieszczenia Ministra Zdrowia [3]
Cyklofosfamid	0,04 zł	0,04 zł	Obwieszczenie Ministra Zdrowia [3]
Elotuzumab	8,32 zł	8,32 zł	IkarPro [23]
Iksazomib	880,88 zł	880,88 zł	IkarPro [23]
Izatuksymab	14,84 zł	14,84 zł	IkarPro [23]
Karfilzomib	46,21 zł	46,21 zł	IkarPro [23]

2.8.3. Pozostałe kategorie kosztowe

Zgodnie z podejściem z analizy ekonomicznej [17], poza kosztem leków, w analizie uwzględniono następujące koszty związane z zastosowaniem interwencji ocenianej oraz komparatorów:

- koszty podania leków,
- koszty premedykacji,
- koszty monitorowania,
- koszty kolejnych linii leczenia,
- koszty leczenia zdarzeń niepożądanych,
- koszty opieki terminalnej.

Tabela 23.
Pozostałe koszty uwzględnione w analizie

Kategoria kosztowa	Wartość
Koszty podania leków (za jedno podanie)	
Podanie leków w formie dożylniej – program lekowy	861,49 zł
Podanie leków w formie dożylniej – chemioterapia	690,26 zł
Podanie leków w formie podskórnej – program lekowy	191,44 zł
Podanie leków w formie podskórnej – chemioterapia	320,37 zł
Podanie leków w formie doustnej	0,00 zł
Koszty monitorowania	
Monitorowanie w programie lekowym (koszt tygodniowy)	1. rok: 94,97 zł Kolejne lata: 26,14 zł
Monitorowanie w ramach chemioterapii (koszt tygodniowy)	55,22 zł
Monitorowanie po progresji bez leczenia (koszt tygodniowy)	19,71 zł
Pozostałe koszty	
Premedykacja	Perspektywa NFZ: 0 zł Perspektywa NFZ + pacjent: Koszty w poszczególnych cyklach zaczerpnięte z analizy ekonomicznej
Leczenie AE – DVRd	15 016,99 zł
Leczenia AE – DRd	8 390,26 zł
Leczenie AE – VRd	11 362,33 zł
Leczenie AE – Rd	7 130,51 zł
Koszty opieki terminalnej	6 475,20 zł

2.9. Analiza wrażliwości

Parametry uwzględnione w analizie BIA mogą podlegać zmianom w zależności od rozrzutu i niepewności oszacowań danych wejściowych. W związku z tym, przeprowadzono jednokierunkowe analizy wrażliwości, zakładające zmienność następujących parametrów:

- parametry populacyjne:
 - wariant A1: zmiana zachorowalności MM (średni przyrost liczby zachorowań na podstawie danych KRN z okresu 2018-2022),
 - wariant A2: zmiana zachorowalności MM (średni przyrost liczby zachorowań na podstawie danych z okresu 1999-2022, z wyłączeniem danych za lata 2020-2021 (okres pandemii Covid-19),
- parametry dotyczące udziałów leków:
 - wariant B1: wariant minimalny rozpowszechnienia DARA w schemacie DVRd w scenariuszu nowym,
 - wariant B2: wariant maksymalny rozpowszechnienia DARA w schemacie DVRd w scenariuszu nowym.
- pozostałe parametry:
 - wariant C1: perspektywa analizy.

W jednokierunkowej analizie wrażliwości, we wszystkich wariantach analizy obliczano prognozowane wydatki w sytuacji, gdy jeden parametr podlegał zmianie, przyjmując wartość uwzględnioną w analizie wrażliwości, natomiast pozostałe zmienne przyjmowały wartości uwzględnione w analizie podstawowej. W ten sposób oszacowano, jaki wpływ na zmianę wydatków może mieć niepewność w oszacowaniu poszczególnych zmiennych.

Szczegółowe wyniki analizy wrażliwości oraz dane dotyczące zakresu zmienności poszczególnych parametrów uwzględnionych w analizie wrażliwości wraz z uzasadnieniem przedstawiono w aneksie (rozdz. A.1).

3. Wyniki analizy

Oszacowane przedstawiono przy uwzględnieniu proponowanych zapisów RSS dla leku Darzalex® w schemacie DVRd. Wyniki bez uwzględnienia RSS zostaną przedstawione w aneksie w rozdz. A.1.

3.1. Populacja docelowa

[illegible]

3.2.Scenariusz istniejący

	2019	2020	2021
Operating income	1,234	1,345	1,456
Operating expenses	(876)	(987)	(1,098)
Operating profit	358	358	358
Non-operating income	123	123	123
Non-operating expenses	(456)	(456)	(456)
Profit before taxes	225	225	225
Taxes	(76)	(76)	(76)
Net income	149	149	149
Other comprehensive income	50	50	50
Other comprehensive expenses	(25)	(25)	(25)
Comprehensive income	174	174	174

[illegible][illegible]

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

[illegible]

[illegible]

[REDACTED]
[REDACTED]

4. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia

4.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Finansowanie terapii DVRd będzie odbywać się w ramach proponowanego programu lekowego na zasadach analogicznych do aktualnie funkcjonującego programu leczenia szpiczaka mnogiego. Takie rozwiązanie legislacyjne nie wydaje się mieć istotnego wpływu na organizację świadczeń zdrowotnych na poziomie świadczeniodawców.

Wymogi dotyczące wyposażenia placówek medycznych (sprzętowe, osobowe i inne) w przypadku podawania leku, monitorowania terapii oraz leczenia działań niepożądanych nie zmienia się w przypadku w przypadku refundacji ze środków publicznych schematu DVRd w stosunku do wymogów stawianych obecnie ośrodkom prowadzącym terapię szpiczaka mnogiego. W związku z tym ośrodki prowadzące aktualnie leczenie szpiczaka mnogiego będą w stanie prowadzić również terapię schematem DVRd.

Podjęcie decyzji o finansowaniu ze środków publicznych DARA w schemacie DVRd nie powinno spowodować istotnych konsekwencji w wydatkach publicznych w innych sektorach niż ochrona zdrowia, dlatego nie przeprowadzano oddzielnej analizy w tym zakresie.

4.2. Aspekty etyczne i społeczne

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu DARA w schemacie DVRd zwiększyłoby spektrum terapeutyczne pacjentom z populacji docelowej. Ze względów etycznych i społecznych (poprawa równości dostępu do świadczeń) należy rozważyć finansowanie DARA w schemacie DVRd zgodnie z wnioskowanym wskazaniem.

Tabela 30.
Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu DARA w schemacie DVRd ze środków publicznych

Analiza aspektów etycznych i społecznych	
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle wyników analizy kosztów efektywności	
Czy koszty efektywności różnią się w poszczególnych podgrupach?	Nie zdefiniowano.
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Nie zdefiniowano.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów społecznych	
Zapewnienie równości dostępu pacjentów o zbliżonych potrzebach do badanej technologii	Finansowanie technologii w ramach programu lekowego (zgodnie z ustawą o refundacji z dnia 17 sierpnia 2023 roku) pozwoli zapewnić równy dostęp do świadczeń zgodnie z kryteriami włączenia do terapii.

Analiza aspektów etycznych i społecznych	
Zaspokajanie niezaspokojonych dotychczas potrzeb grup społecznie upośledzonych	
Odpowiedź na potrzeby osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	W ocenianym wskazaniu dostępne są opcjonalne metody leczenia.
Zgodność z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie technologii jest zgodne z obowiązującym prawem.
Wpływ na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Zbliżona do alternatywnych technologii.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów etycznych	
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Zbliżona do obecnie stosowanych terapii.
Ryzyko niezaakceptowania terapii przez poszczególnych chorych	Ryzyko niezaakceptowania terapii przez pacjentów jest niewielkie, zbliżone do alternatywnych technologii i prawdopodobnie dotyczy jedynie przypadków wystąpienia zdarzeń niepożądanych.
Możliwość stygmatyzacji chorych	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Możliwość wywoływania lęku	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Możliwość powodowania dylematów moralnych	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Możliwość stwarzania problemów dotyczących płci lub rodzinnych	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Konieczność szczególnego informowania lub uzyskiwania zgody pacjenta na podanie leku	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Potrzeba zapewnienia pacjentowi niekrępujących warunków lub poufności przy podaniu leku	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze terapii	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta przy wyborze terapii	Zbliżone do obecnie stosowanych terapii.

5. Podsumowanie

[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]

6. Wnioski

[Redacted content]

7. Ograniczenia

- W analizie wpływu na budżet wykorzystano dane kliniczne i kosztowe zaczerpnięte z analizy klinicznej i analizy ekonomicznej, w związku z czym ograniczenia tych analiz przekładają się również na ograniczenia niniejszej analizy.
- Oszacowanie populacji docelowej przeprowadzono w oparciu o dane NFZ dotyczące liczby pacjentów leczonych rocznie z zastosowaniem chemioterapii dedykowanej MM oraz odsetka pacjentów leczonych z zastosowaniem ASCT oraz dane KRN w zakresie dynamiki zmian zachorowalności na MM w Polsce. Dane KRN wykorzystane do wyznaczenia wzrostu zachorowalności to dane z lat 1999–2022, w związku z czym obliczenia na ich podstawie mogą być obarczone niepewnością wynikającą z uwzględnienia historycznych trendów zmian zachorowalności sprzed ponad 10 lat. Jednocześnie, jako że zmiany zachorowalności w stosunku do roku poprzedniego wyznaczone na podstawie danych KRN podlegają dużym zmianom na przestrzeni lat, ograniczenie zakresu danych wykorzystanych w obliczeniach nie wydaje się zasadne. Dodatkowo należy zaznaczyć, że wzrost zachorowalności wyznaczony w oparciu o dane KRN utożsamiono z rokrocznym wzrostem liczby pacjentów rozpoczynających leczenie.
- Rozpowszechnienie terapii, w tym potencjalny udział DVRd, określono w oparciu o badanie ankietowe. W celu zbadania niepewności założeń w tym zakresie przeprowadzono stosowne analizy wrażliwości.
- Wydatki ponoszone na leczenie schematem Rd określono w uproszczeniu. Niemniej jednak, schemat DVRd będzie zastępował jedynie schematy DRd i VRd, zatem wydatki ponoszone na schemat Rd stanowić będą koszt nieróżnicujący i nie mają wpływu na wyniki analizy.

8. Dyskusja

Celem analizy wpływu na budżet było określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego i pacjentów w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych DARA stosowanego w ramach schematu DVRd w populacji docelowej.

Liczebność populacji docelowej oszacowano zgodnie z kryteriami włączenia do programu, na podstawie dostępnych danych NFZ i KRN oraz opinii ekspertów klinicznych. Wpływ omawianych parametrów na oszacowanie populacji docelowej i wyniki niniejszej analizy zbadano w ramach analizy wrażliwości.

Schematy stosowane wśród pacjentów z populacji docelowej, a także ich rozpowszechnienie w scenariuszu istniejącym i nowym określono na podstawie konsensusu eksperckiego opartego o wyniki badania ankietowego. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

9. Bibliografia

1. ██████████ (2025) Analiza problemu decyzyjnego. Daratumumab (Darzalex®) w schemacie DVRd stosowany w pierwszej linii leczenia szpiczaka plazmocytoowego u pacjentów niekwalifikujących się do ASCT.
2. Spotkanie Grupy Doradczej z polskimi ekspertami klinicznymi w dniu 5 czerwca 2025 roku.
3. (2025) Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 r. Dostęp: <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-17-czerwca-2025-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-lipca-2025-r>.
4. Uchwała Nr 6/2025/IV w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2024 r. Dostęp: <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzania-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-62025iv,6694.html>.
5. Charakterystyka produktu leczniczego Darzalex (daratumumab). Dostęp: https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/darzalex-epar-product-information_pl.pdf (8.8.2025).
6. Yong K, Delforge M, Driessen C, Fink L, Flinois A, Gonzalez-McQuire S, Safaei R, Karlin L, Mateos M-V, Raab MS, Schoen P, Cavo M. (2016) Multiple myeloma: patient outcomes in real-world practice. *Br J Haematol* 175(2):252–264.
7. Coriu D, Dytfield D, Niepel D, Spicka I, Markuljak I, Mihaylov G, Ostojic-Kolonic S, Fink L, Toka KS, Björklöf K. (2018) Real-world multiple myeloma management practice patterns and outcomes in selected Central and Eastern European countries. *Pol Arch Intern Med* 128(9):500–511.
8. Hájek R, Jarkovsky J, Maisnar V, Pour L, Špička I, Minařík J, Gregora E, Kessler P, Sýkora M, Fraňková H, Campioni M, DeCosta L, Treur M, Gonzalez-McQuire S, Bouwmeester W. (2018) Real-world Outcomes of Multiple Myeloma: Retrospective Analysis of the Czech Registry of Monoclonal Gammopathies. *Clin Lymphoma Myeloma Leuk* 18(6):e219–e240.
9. Bruno AS, Willson JL, Opalinska JM, Nelson JJ, Lunacsek OE, Stafkey-Mailey DR, Willey JP. (2020) Recent real-world treatment patterns and outcomes in US patients with relapsed/refractory multiple myeloma. *Expert Rev Hematol* 13(9):1017–1025.
10. (2024) Rocznik Demograficzny 2024. GUS Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2024,3,18.html>.
11. Kristinsson SY, Holmberg E, Blimark C. (2013) Treatment for high-risk smoldering myeloma. *N Engl J Med* 369(18):1762–1763.
12. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dostęp: <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=wdu20111220696> (18.2.2025).
13. Wytoczne oceny technologii medycznych, wersja 3.0. Dostęp: http://www.aotm.gov.pl/www/wp-content/uploads/wytoczne_hta/2016/20160913_Wytoczne_AOTMiT.pdf (19.8.2022).
14. (2019) Szpiczak plazmocytoowy (mnogi). Ocena jakości informacyjnej rejestru kontraktowego. NFZ Dostęp: <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/badania-i-dane/zdrowe-dane/raporty/szpiczak-plazmocytoowy> (18.5.2022).
15. Krajowy Rejestr Nowotworów. Dostęp: <http://onkologia.org.pl/raporty/>.
16. (2025) Darzalex w schemacie DVRd w leczeniu pacjentów z nowo zdiagnozowanym szpiczakiem plazmocytoowym w Polsce - spotkanie doradcze z udziałem polskich ekspertów klinicznych.
17. ██████████ Daratumumab (Darzalex®) stosowany w schemacie DVRd w pierwszej linii leczenia szpiczaka plazmocytoowego u pacjentów niekwalifikujących się do ASCT.
18. 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. Dostęp: <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/download.xsp/WDU20230002345/O/D20232345.pdf> (18.2.2025).
19. Budziszewska BK, Więckowska B, Lech-Marańda E, Mikołajczyk T, Dagiel J, Jędrzejczak WW. (2017) Zachorowalność i chorobowość na nowotwory układu krwiotwórczego w Polsce (2009–2015) określone na podstawie analizy danych Narodowego Funduszu Zdrowia wykorzystanych w projekcie „Mapy potrzeb zdrowotnych — baza analiz systemowych i wdrożeniowych”. *Hematologia* 8(2):89–104.
20. Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku Kyprolis (karfilzomib) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na opornego lub nawrotowego szpiczaka mnogiego (ICD-10 C90)”. Analiza

- weryfikacyjna. AOTMiT 2018 Dostęp:
https://bipold.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2018/020/AWA/020_AWA_OT.4331.4.2018_KYPROLIS_karfilzomib_szpiczak_mnogi_C90_2018.05.23.pdf (26.9.2022).
21. Giannopoulos K, Jamrozik K, Usnarska-Zubkiewicz L, Dytfeld D, Jurczyszyn A, Walewski J, Lech-Marańda E, Druzd-Sitek A, Wróbel T, Walter-Croneck A, Pieńkowska-Grela B, Charliński G, Jędrzejczak WW, Małkowski B, Hus I, i in. Zalecenia Polskiej Grupy Szpiczakowej dotyczące rozpoznawania i leczenia szpiczaka plazmocytozy oraz innych dyskracji plazmocytozy na rok 2025. Dostęp: <https://hematoonkologia.pl/uploads/ZPGS-2025.pdf>.
22. (2025) Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do kwietnia 2025 r. Dostęp: <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8794.html>.
23. IkarPro. Dostęp: <https://ikarpro.pl/pl/#/>.

10. Spis tabel

Tabela 1.	Liczebność populacji docelowej w 2025 roku	10
Tabela 2.	Wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej w 2025 roku	10
Tabela 3.	Liczba osób stosujących DARA w ramach PL B.54 oraz B.145	11
Tabela 4.	Liczebność populacji pacjentów z noworozpoznanym MM, którzy kwalifikują się do ASCT	13
Tabela 5.	Liczebność populacji dorosłych pacjentów z MM, którzy otrzymali co najmniej jedną wcześniejszą linię leczenia	13
Tabela 6.	Liczebność populacji dorosłych pacjentów z nowo rozpoznaną układową amyloidozą AL	14
Tabela 7.	Liczebność populacji dorosłych pacjentów z tłącym się szpiczakiem mnogim, u których występuje wysokie ryzyko rozwoju szpiczaka mnogiego	15
Tabela 8.	Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	15
Tabela 9.	Zestawienie źródeł danych wykorzystanych w niniejszej analizie	16
Tabela 10.	Liczba pacjentów z rozpoznanym MM oraz pacjentów leczonych z zastosowaniem chemioterapii	21
Tabela 11.	Średnia zmiana zachorowalności MM na podstawie danych KRN	21
Tabela 12.	Prognoza liczby nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM rozpoczynających leczenie	22
Tabela 13.	Liczba pacjentów leczonych z zastosowaniem chemioterapii/ASCT	23
Tabela 14.	Liczba nowo zdiagnozowanych pacjentów z MM, niekwalifikujących się do ASCT – prognoza na podstawie danych z raportu NFZ	23
Tabela 15.	Odsetek pacjentów z ECOG 0-2 – dane przyjęte w analizie	23
Tabela 16.	Liczebność populacji docelowej w latach 2026-2027 – podsumowanie	24
		24
		24
		25
		27
		27
Tabela 22.	Koszt pozostałych leków uwzględnionych w analizie	27
Tabela 23.	Pozostałe koszty uwzględnione w analizie	28
		30
		31
		31
		32
		32
		32
Tabela 30.	Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu DARA w schemacie DVRd ze środków publicznych	34
Tabela 31.	Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 24.10.2023 r. dla analizy wpływu na budżet	44
Tabela 32.	Wydatki płatnika publicznego – analiza podstawowa, scenariusz nowy, bez uwzględnienia RSS	46
Tabela 33.	Wydatki inkrementalne płatnika publicznego - analiza podstawowa, bez uwzględnienia RSS	46
Tabela 34.	Parametry jednokierunkowej analizy wrażliwości	47
Tabela 35.	Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości - z uwzględnieniem RSS	47
Tabela 36.	Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości - bez uwzględnienia RSS	48
		49

		49
		49
		50
		50
		51
		51
		51
		52

11. Zestawienie weryfikacyjne analizy ze względu na minimalne wymagania Ministerstwa Zdrowia

Tabela 31.

Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 24.10.2023 r. dla analizy wpływu na budżet

Wymagania	Rozdział
§ 3.	
Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.	Dane w zakresie cen leków oraz sposobu finansowania ocenianych technologii są aktualne na dzień złożenia wniosku
§ 6.1 Analiza wpływu na budżet zawiera:	
1. Oszacowanie rocznej liczebności populacji:	
• obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,	Rozdz. 1.2.5
• docelowej, wskazanej we wniosku,	Rozdz. 2.5
• w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana,	Rozdz. 1.2.4
2. oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdz. 2.5
3. oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...) ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;	Rozdz. 1.2.3
4. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją (...)	Rozdz. 3.2
5. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdz. 3.3
6. oszacowanie dodatkowych wydatków (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami (...)	Rozdz. 3.4
7. minimalny i maksymalny wariant oszacowania (...)	Rozdz. A.2.4
8. zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...)	
9. wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...), w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu,	Rozdz. 1.4
10. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania (...) oraz prognozy (...)	Załącznik analizy

Wymagania		Rozdział
§ 6.2.		
Oszacowania (...) oraz prognozy (...) dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet.		Rozdz. 2.4
§ 6.3.		
Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonuje się w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. (...). Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane.		Rozdz. 2.5
§ 6.4		
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (...), oszacowania (...) oraz prognozy (...) powinny być przedstawione w następujących wariantach:	z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.	Rozdz. 3, A.1
§ 7.1		
W analizach, o których mowa (...) wnioskodawca prezentuje oszacowania uwzględniające włączenie wnioskowanej technologii do istniejącej grupy limitowej albo oszacowania uwzględniające utworzenie nowej grupy limitowej		Rozdz. 1.3
§ 7.2		
W przypadku gdy istnieją przesłanki do utworzenia nowej, odrębnej grupy limitowej i wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analizy (...) zawierają dodatkowo dowody uzasadniające utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej wraz z dodatkowymi oszacowaniami (...)		Nie dotyczy
§ 8. Analizy, o których mowa w § 1, muszą zawierać:		
dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji.		Rozdz. 9
wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii.		

Aneks A.

A.1. Wyniki analizy w wariancie bez RSS

A.1.1. Scenariusz nowy

Tabela 32.
Wydatki płatnika publicznego – analiza podstawowa, scenariusz nowy, bez uwzględnienia RSS

Kategoria	2026	2027

A.1.2. Wydatki inkrementalne

Tabela 33.
Wydatki inkrementalne płatnika publicznego - analiza podstawowa, bez uwzględnienia RSS

Kategoria	2026	2027
Łączne koszty	141,69 mln zł	265,60 mln zł

A.2. Analiza wrażliwości

A.2.1. Warianty analizy wrażliwości

W analizie wrażliwości przedstawiono, w jakim zakresie mogą się zmieniać wydatki płatnika publicznego, jeśli zmianie będą podlegały parametry, których nie udało się oszacować z wystarczającą precyzją lub pewnością.

Poniżej w formie tabelarycznej przedstawiono parametry podlegające zmianie w poszczególnych wariantach analizy wrażliwości, wraz z zakresem zmian oraz ich uzasadnieniem.

Tabela 34.
Parametry jednokierunkowej analizy wrażliwości

Parametr	Wariant	Wartość parametru w kolejnych latach		Uzasadnienie
		2025	2026	
Liczebność populacji docelowej	A0			Rozdz. 2.5.1 i 2.5.4
	A1			
	A2			
Udział leków	B0			Rozdz. 2.6.2
	B1			
	B2			
Perspektywa	C0	NFZ		Rozdz. 2.3
	C1	NFZ + pacjent		

Poniżej przedstawiono wyniki jednokierunkowych analiz wrażliwości.

A.2.2. Wyniki z uwzględnieniem RSS

Tabela 35.
Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości - z uwzględnieniem RSS

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2026	2027	2026	2027
Analiza podstawowa	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
A1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
A2	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
B1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2026	2027	2026	2027
B2	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
C1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				

A.2.3. Wyniki bez uwzględnienia RSS

Tabela 36.
Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości - bez uwzględnienia RSS

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2026	2027	2026	2027
Analiza podstawowa	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
A1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
A2	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
B1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
B2	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				
C1	Wydatki na Darzalex® w DVRd				
	Wydatki całkowite				

A.2.4. Podsumowanie

A.3. Wyniki badania ankietowego

[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]	[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]	[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]

[illegible]

[illegible][illegible]

Strona 52