



# Oxlumo<sup>®</sup> (lumazyran) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.1

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

Przygotowano dla:  
Medison Pharma Sp. z o.o.

Warszawa, 14.11.2025 r.

Osoby do kontaktu:

**Cezary Prusko**

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

**Michał Jachimowicz**

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

**MAHTA Sp. z o.o.**

Warszawa 02-616  
ul. Modra 90/111

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

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

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

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

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana 14.11.2025 r. w związku z uwagami zawartymi w piśmie DIPOTM.423.1.3.2025.4.AS z dnia 28 października 2025 r. Pierwotnie analiza została zakończona 29.09.2025 r.

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

### **Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Medison Pharma 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>11</b> |
| <b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>                                                                                                                                    | <b>11</b> |
| 2.1. Metodyka analizy .....                                                                                                                                                | 11        |
| 2.2. Horyzont czasowy .....                                                                                                                                                | 12        |
| 2.3. Perspektywa .....                                                                                                                                                     | 13        |
| 2.4. Scenariusze porównywane .....                                                                                                                                         | 13        |
| 2.5. Populacja .....                                                                                                                                                       | 15        |
| 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia<br>wnioskowana może zostać zastosowana.....                                                          | 15        |
| 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....                                                                                                                       | 15        |
| 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....                                                                                            | 16        |
| 2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy<br>założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu<br>refundacją.....     | 16        |
| 2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy<br>założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu<br>refundacją..... | 17        |
| 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w<br>minimalnych wymaganiach .....                                                                      | 17        |
| <b>3. Analiza kosztów.....</b>                                                                                                                                             | <b>18</b> |
| 3.1. Koszt leków .....                                                                                                                                                     | 20        |

---

|                                                                                                                                  |           |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 3.1.1. Ceny leków .....                                                                                                          | 21        |
| 3.1.1. Pozostałe kategorie kosztowe .....                                                                                        | 22        |
| 3.1.2. Modelowanie kosztów .....                                                                                                 | 22        |
| 3.1.3. Podsumowanie kosztów .....                                                                                                | 25        |
| 3.2. Podsumowanie danych wejściowych.....                                                                                        | 27        |
| 3.3. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....                                                                                 | 31        |
| 3.3.1. Aktualne wydatki budżetowe .....                                                                                          | 31        |
| 3.3.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....                                                                                      | 31        |
| <b>4. Analiza wrażliwości .....</b>                                                                                              | <b>34</b> |
| <b>5. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>                                                                         | <b>37</b> |
| <b>6. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>                                                                                      | <b>37</b> |
| <b>7. Założenia i ograniczenia .....</b>                                                                                         | <b>38</b> |
| <b>8. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>                                                                                   | <b>39</b> |
| <b>9. Załączniki .....</b>                                                                                                       | <b>43</b> |
| 9.1. Uzasadnienie finansowania technologii wnioskowanej w ramach istniejącej grupy<br>limitowej .....                            | 43        |
| 9.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w<br>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań..... | 43        |
| <b>10. Spis tabel .....</b>                                                                                                      | <b>46</b> |
| <b>11. Spis rysunków .....</b>                                                                                                   | <b>48</b> |
| <b>12. Bibliografia.....</b>                                                                                                     | <b>49</b> |

---

## Indeks skrótów

| Skrót  | Rozwinięcie                                                                                                    |
|--------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| AEs    | ang. <i>adverse events</i> – zdarzenia niepożądane                                                             |
| AOTMiT | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji                                                             |
| BIA    | ang. <i>Budget Impact Analysis</i> – analiza wpływu na budżet                                                  |
| CHB    | Cena hurtowa brutto                                                                                            |
| ChPL   | Charakterystyka Produktu Leczniczego                                                                           |
| CI     | ang. <i>confidence interval</i> - przedział ufności                                                            |
| CKD    | ang. <i>chronic kidney disease</i> - przewlekła choroba nerek                                                  |
| CZN    | Cena zbytu netto                                                                                               |
| DDD    | ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku                                                             |
| DGL    | Departament Gospodarki Lekami                                                                                  |
| eCRF   | ang. <i>electronic case report form</i> - elektroniczny formularz zgłoszenia sprawy                            |
| ESKD   | ang. <i>End-stage kidney disease</i> - schyłkowa niewydolność nerek                                            |
| GO     | ang. <i>Glycolate oxidase</i> - oksydaza glikolanowa                                                           |
| HTA    | ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych                                        |
| JGP    | jednorodne grupy pacjentów                                                                                     |
| mg     | miligram                                                                                                       |
| ml     | mililitr                                                                                                       |
| MZ     | Minister Zdrowia                                                                                               |
| n      | liczba chorych w grupie, u których wystąpiło zdarzenie                                                         |
| N      | liczba chorych w grupie                                                                                        |
| n/d    | nie dotyczy                                                                                                    |
| NFZ    | Narodowy Fundusz Zdrowia                                                                                       |
| NICE   | ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i> – Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych |
| Oxc    | ang. <i>Controlled oxalate levels</i> - kontrolowane poziomy szczawianu                                        |
| Oxu    | ang. <i>Uncontrolled oxalate levels</i> - niekontrolowane poziomy szczawianu                                   |
| PH1    | ang. <i>Primary hyperoxaluria type 1</i> - pierwotna hiperoksaluria typu 1                                     |
| PKB    | produkt krajowy brutto                                                                                         |
| PL     | program lekowy                                                                                                 |
| PLN    | polski złoty                                                                                                   |
| RSS    | ang. <i>Risk Sharing Agreement</i> – instrument podziału ryzyka                                                |
| VAT    | ang. <i>value-added tax</i> – podatek od wartości dodanej                                                      |

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o kontynuacji finansowania ze środków publicznych leku Oxlumo® (lumazyran) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1.

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

### METODYKA

Wszystkie dane wejściowe są zgodne z danymi użytymi w analizie ekonomicznej w przypadku wariantu podstawowego. Należy zauważyć, że przerwanie leczenia zostało wymodelowane w modelu kosztu-efektywności, który posłużył do oszacowania wszystkich kosztów i wyników uwzględnionych w analizie wpływu na budżet.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią chorzy na pierwotną hiperoksalurię typu 1. Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii. Aktualnie w Polsce jest dostępny lek Oxlumo® refundowany od 1 marca 2022 w pierwotnej hiperoksalurii typu 1 w ramach programu lekowego. Dodatkowo do stosowanych obecnie technologii zalicza się ustalone postępowanie kliniczne (ECM, ang. *Established Clinical Management*), ECM może obejmować dietę kontrolującą szczawiany, hiperhydratację, witaminę B6 i doustne suplementy cytrynianu w celu zahamowania krystalizacji szczawianu wapnia (*Milliner 2022; Cochat 2012; Garrelfs 2021*). Hemodializa i dializa otrzewnowa mogą być również wymagane w celu zmniejszenia przesylenia szczawianem wapnia w osoczu i zminimalizowania oksalozy ogólnoustrojowej u osób w bardziej zaawansowanych stadiach niewydolności nerek. W niniejszej analizie lumazyran jest porównywany z ECM. W ramach analizy uwzględniono wyniki z badania *ILUMINATE-A*, *ILUMINATE-B*, *ILUMINATE-C*.

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.

Zgodnie w Wykazem leków refundowanych, lek Oxlumo® jest objęty refundacją do końca lutego 2026, po tym okresie nastąpi decyzja o kontynuowaniu refundacji. Zatem w analizie przyjęto, że scenariusz istniejący obrazuje sytuację, w której lumazyran od 1 kwietnia 2026 nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której lumazyran będzie dalej stosowany w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 i 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 uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty programu lekowego;
- ⊕ koszty przepisania i podania leków;
- ⊕ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
- ⊕ koszty dializy;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń ostrych PH1;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty opieki paliatywnej;
- ⊕ koszty transplantacji;
- ⊕ koszty leczenia powikłań ogólnoustrojowych.

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

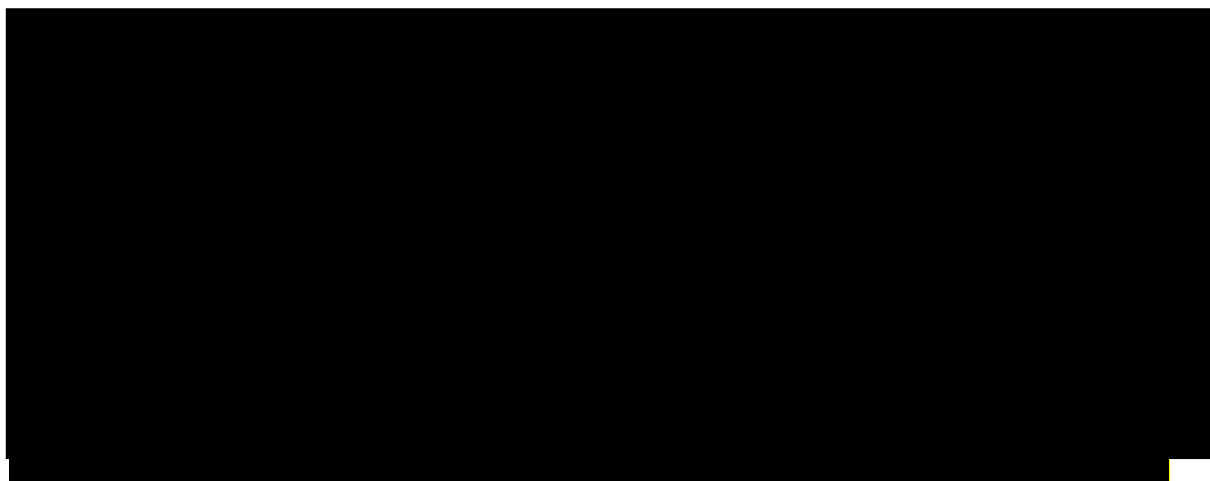
W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Wnioskodawcę umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w wariantcie uwzględniającym i nieuwzględniającym proponowaną umowę podziału ryzyka.

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego. Przyjęto 3-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

Ze względu na duże podobieństwo wyników z perspektywy wspólnej do wyników z perspektywy płatnika publicznego, zdecydowano na przedstawienie tylko wyników z perspektywy płatnika publicznego.

## WYNIKI

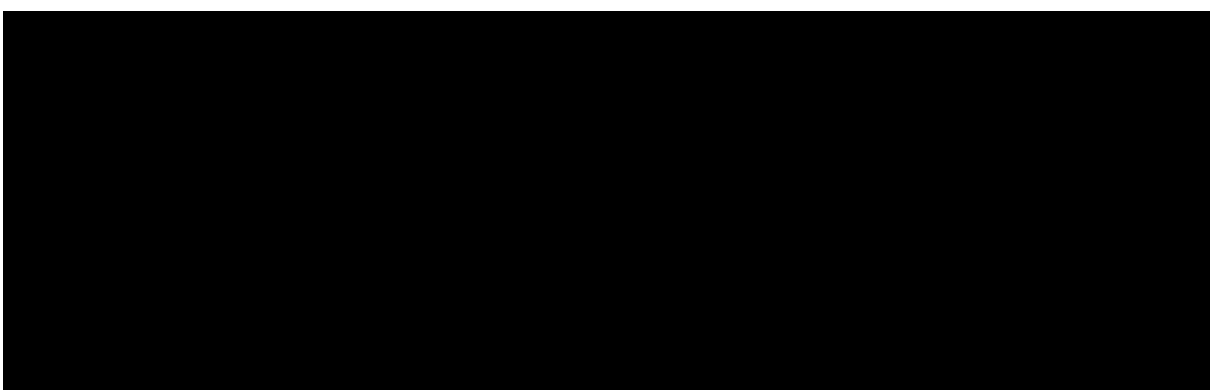
### Oszacowanie populacji



### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego



### Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS





### Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS

| Wariant populacji                                               | Wartość<br>inkrementalna w 1.<br>roku analizy | Wartość<br>inkrementalna w 2.<br>roku analizy | Wartość<br>inkrementalna w 3.<br>roku analizy |
|-----------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------|-----------------------------------------------|-----------------------------------------------|
| <b>Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)</b>                       |                                               |                                               |                                               |
| Minimalny                                                       | 6 437 125,61                                  | 6 732 968,32                                  | 6 295 736,32                                  |
| Prawdopodobny                                                   | 8 373 182,27                                  | 12 493 827,44                                 | 15 497 724,91                                 |
| Maksymalny                                                      | 13 037 896,09                                 | 18 797 987,98                                 | 26 369 134,65                                 |
| <b>Wydatki inkrementalne związane z ceną leku Oxlumo® (PLN)</b> |                                               |                                               |                                               |
| Minimalny                                                       |                                               |                                               |                                               |
| Prawdopodobny                                                   |                                               |                                               |                                               |
| Maksymalny                                                      |                                               |                                               |                                               |

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wyniki z perspektywy wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego.

### **PODSUMOWANIE I WNIOSKI**

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o refundacji lumazyranu (Oxlumo®) w ramach *programu lekowego*.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie kontynuowanie w Polsce praktyki klinicznej leczenia chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1. Lekarze nadal będą posiadali dostęp do terapii dedykowanej chorym na pierwotną hiperoksalurię typu 1, będą mogli skorzystać z terapii lekiem Oxlumo®. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji finansowanie leku Oxlumo® zapewni chorym na pierwotną hiperoksalurię typu 1 dostęp do

---

skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. [REDACTED]  
[REDACTED]

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

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED] Zatem kontynuacja refundacji lumazyranu przyczyni się do leczenia wszystkich pacjentów kwalifikujących się do leczenia lekiem Oxlumo®.

W analizie wskazano, że w przypadku odnowienie decyzji refundacyjnej dla leku Oxlumo® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione.

---

## 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 Oxlumo® (lumazyranu) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o ponownym finansowaniu ze środków publicznych leku Oxlumo® 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. [REDACTED]  
[REDACTED]
3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych.
5. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza

- istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
  7. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji o ponownym 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 sprzedaży bądź liczby leczonych pacjentów) oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, iż zgodnie z *Ustawą o refundacji*, decyzja o finansowaniu ze środków publicznych dla leków, dla których nieprzerwanie obowiązywała decyzja administracyjna o objęciu refundacją przez okres dłuższy niż 3 lata, wydawana jest na okres 3 lat.

Ze względu na fakt, że nowa decyzja refundacyjna dla leku Oxlumo® zacznie obowiązywać od kwietnia 2026 w całej analizie każdy rok zaczyna się od kwietnia a kończy w marcu np. rok

2026 to okres od kwietnia 2026 do marca 2027 dla uproszczenia w całym dokumencie używano zapisu pełnych lat.

## 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnym 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 zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego, dlatego w niniejszej analizie przedstawiono wyniki z perspektywy płatnika publicznego.

## 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację, w której technologia wnioskowana nie jest refundowana w ramach programu lekowego w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego.

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest nadal refundowana z budżetu płatnika publicznego oraz lek jest wydawany bezpłatnie. W scenariuszu tym lek nadal będzie dostępny w programie lekowym i będzie wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w istniejącej grupie limitowej

---

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

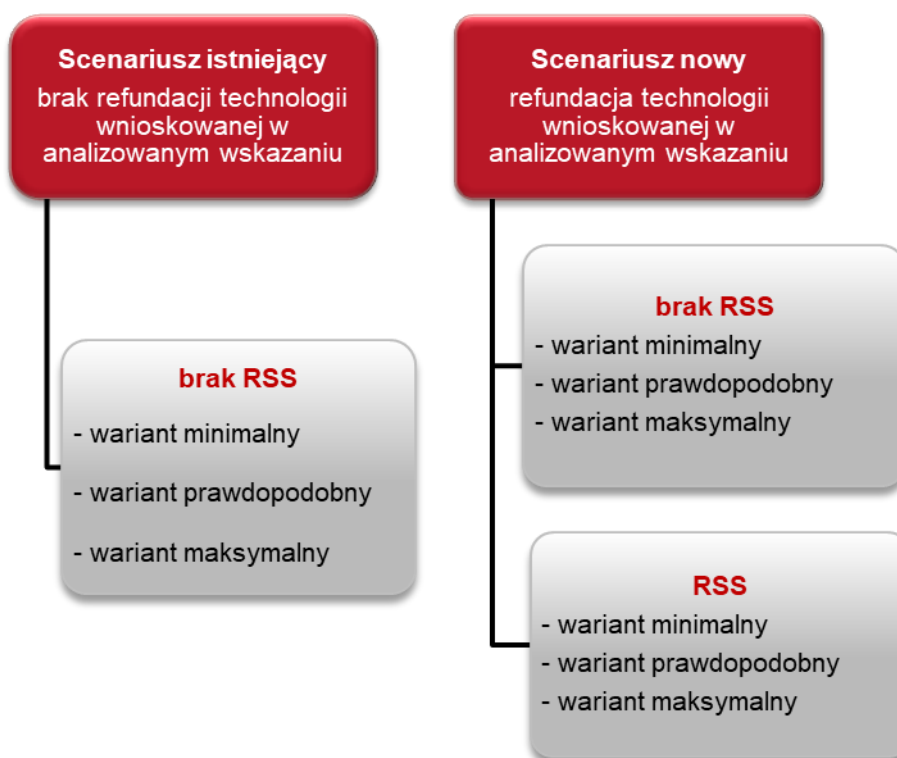
Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata, wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy tymi scenariuszami.

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.

#### 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

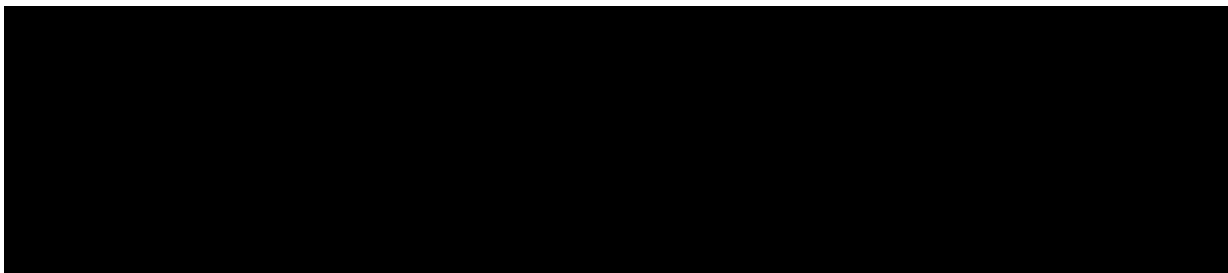
Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o ChPL wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL Oxlumo®*, lumazyran wskazany jest w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 (ang. *primary hyperoxaluria type 1*).

Populacja u których technologia wnioskowana może być stosowana jest zbieżna z populacją wskazaną we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie oraz pokrywa się z ChPL Oxlumo®. Wielkość tej populacji przedstawiono poniżej (rozdział 2.5.2).

### 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wskazanie wnioskowane obejmuje wskazanie określone w *ChPL Oxlumo®*. Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie (populacja docelowa) obejmuje dzieci i dorosłych pacjentów z PH1.

[Redacted content]



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

Obecnie lumazyran jest w Polsce refundowany w *Programie lekowym B.129.FM*. Na podstawie danych ze *Sprawozdań NFZ* określono, iż w 2024 roku liczba chorych leczonych lumazyranem w *Programie lekowym B.129.FM* wyniosła 8 i wartość ta odpowiada wielkości populacji, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana.

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

Populację, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o kontynuacji refundacji, oszacowano na podstawie prognozowanych udziałów, jakie lek Oxlumo® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

#### **2.5.4.1. Udziały w rynku**

W związku z brakiem refundowanego komparatora we wnioskowanym Programie Lekowym B.129.FM, przyjęto, że . Dodatkowym uzasadnieniem powyższego jest fakt, iż wnioskowana technologia posiada ugruntowaną pozycję na rynku refundacyjnym (lumazyran jest refundowany nieprzerwanie od marca 2022 roku w ramach Programu lekowego B.129.FM).



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 3.**  
**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. 1pkt 1 lit. a |
| Populacja docelowa, wskazana we wniosku                                                                                                                  |                                           | art. 6 ust. 1pkt 1 lit. b |
| Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana                                                                                       | 8                                         | art. 6 ust. 1pkt 1 lit. c |
| Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją     |                                           | art. 6 ust. 1pkt 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. 1pkt 4        |

### 3. Analiza kosztów

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

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

Po dokładnym przeanalizowaniu wyników *Analizy klinicznej* oraz przestudiowaniu aktualnej praktyki klinicznej leczenia (zwłaszcza *Programu lekowego*) w analizie uwzględniono i

oceniano następujące kategorie kosztowe ponoszone z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty programu lekowego;
- ⊕ koszty przepisania i podania leków;
- ⊕ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
- ⊕ koszty dializy;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń ostrych PH1 (kamica nerkowa);
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty opieki paliatywnej;
- ⊕ koszty transplantacji;
- ⊕ koszty leczenia powikłań ogólnoustrojowych.

Wymienione kategorie kosztowe stanowią całkowite koszty różniące oceniane technologie medyczne.

Cenę jednostkową wnioskowanej technologii uzyskano od Wnioskodawcy [*dane dostarczone przez Wnioskodawcę*]. Koszt świadczeń zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych w ramach umów przyjęto w oparciu o Zarządzenia Prezesa NFZ [*Zarządzenie programu lekowe, Zarządzenie ambulatoryjna opieka specjalistyczna, Zarządzenie leczenie szpitalne, Zarządzenie opieka psychiatryczna i leczenie uzależnień, Zarządzeniem opieka paliatywna i hospicyjna*].

Koszt świadczeń został pomnożony razy wycenę punktów dla uwzględnionych świadczeń określono na podstawie *Informatora o umowach NFZ* za 2025 rok i przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 4.**  
**Wycena średniej wartości punktu, w zależności od świadczenia, na podstawie Informatora o umowach NFZ za 2025 rok**

| Świadczenie                                                                                                       | Cena za 1 punkt (PLN) |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------|
| Ambulatoryjna opieka specjalistyczna                                                                              |                       |
| Leczenie szpitalne                                                                                                |                       |
| Zespół środowiskowej opieki psychologicznej i psychoterapeutycznej dla dzieci i młodzieży - I poziom referencyjny |                       |

| Świadczenie                                                        | Cena za 1 punkt (PLN) |
|--------------------------------------------------------------------|-----------------------|
| Dializoterapia otrzewnowa                                          |                       |
| Hemodializoterapia                                                 |                       |
| Programy lekowe                                                    |                       |
| Świadczenia w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym |                       |

### 3.1. Koszt leków

#### LUMAZYRAN

Na podstawie *Charakterystyki Produktu Leczniczego Oxlumo®* określono, że produkt leczniczy Oxlumo® jest podawany we wstrzyknięciu podskórnym. Zalecana dawka Oxlumo® obejmuje dawki nasycające podawane raz w miesiącu przez 3 miesiące, a następnie jako dawki podtrzymujące rozpoczynając miesiąc po podaniu ostatniej dawki nasycającej. Dawkowanie ustala się w oparciu o masę ciała. Dawki nasycające i podtrzymujące lumazyranu są oparte na pomiarach masy ciała. Poniższa tabela pokazuje dawkę lumazyranu na podanie i liczbę podań na kwartał.

**Tabela 5.**  
**Dawkowanie leku Oxlumo®**

| Waga                     | <10 kg | ≥10 do <20 kg | ≥20 kg |
|--------------------------|--------|---------------|--------|
| Dawka (mg/kg) na podanie |        |               |        |
| Dawka nasycająca         | 6      | 6             | 3      |
| Dawka podtrzymująca      | 3      | 6             | 3      |
| Liczba podań na kwartał  |        |               |        |
| Dawka nasycająca         | 3      | 3             | 3      |
| Dawka podtrzymująca      | 3      | 1             | 1      |

Średnia liczba podań na kwartał wynosi trzy w fazie dawki nasycającej i jedno w fazie dawki podtrzymującej, niezależnie od populacji. Odpowiada to średniej liczbie fiolek na jedną czwartą wynoszącej trzy w fazie dawki nasycającej i jedną w fazie dawki podtrzymującej dla populacji pediatrycznej oraz odpowiednio dziewięć i trzy fioleki dla populacji dorosłych. Dlatego średnia liczba podań na cykl w modelu wynosi cztery dla cyklu 1 i dwa dla kolejnych cykli, niezależnie od populacji. Średnia liczba fiolek na cykl w modelu wynosi cztery dla cyklu 1 i dwie dla kolejnych cykli dla populacji pediatrycznej oraz 12 dla cyklu pierwszego i 6 dla kolejnych cykli dla populacji dorosłych. Należy zauważyć, że gdyby odsetek chorych pediatrycznych rósł z

czasem, gdy chorzy z incydentami wchodzili do leczonej populacji, można by oczekiwać zmniejszenia średniego zużycia fiołki, zmniejszając w ten sposób średnie koszty leczenia w ramieniu lumazyranu co wpływałoby na wynik analizy. Analiza nie zakłada dzielenia fiołek, co oznacza, że żadna otwarta fiołka nie może być ponownie użyta, a zatem cały koszt jest uwzględniany, nawet jeśli dawka została podana w mniejszej ilości niż cała fiołka.

### 3.1.1. Ceny leków

#### LUMAZYRAN

Ceny zbytu netto leku Oxlumo® przyjęto na podstawie danych otrzymanych od Wnioskodawcy [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę].

[Redacted text block]

[Redacted text block]

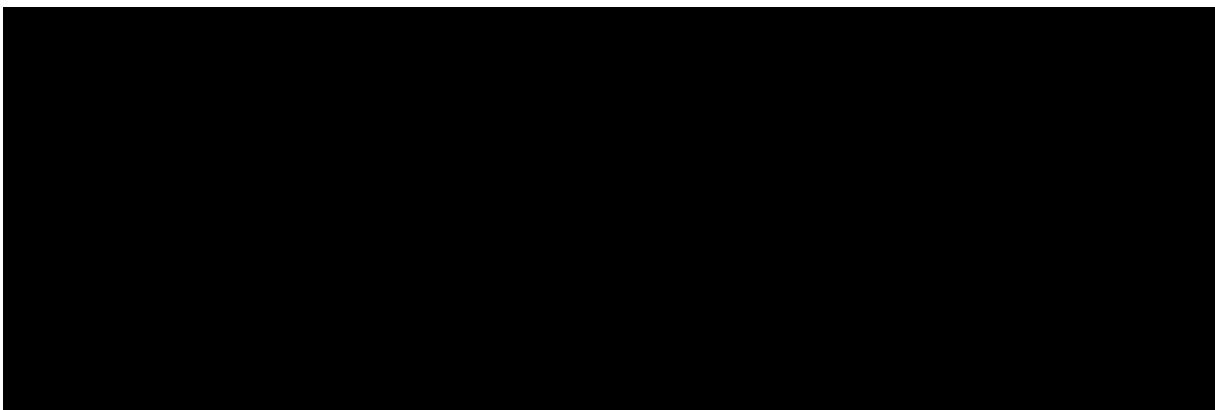
[Redacted text block]

#### Witamina B6

Witamina B6 jest uwzględniona w modelu jako składnik ECM. Cena witaminy B6 została zaczerpnięta z bazy leków<sup>2</sup> koszt to 0 PLN z perspektywy NFZ i 9,22 PLN za opakowanie na dzień 04.11.2025, (50 szt. Tabletki, 50 mg). Koszt jednego cyklu leczenia witaminą B6 został obliczony na podstawie dawki na kilogram masy ciała, średniej masy ciała populacji dzieci i dorosłych oraz proporcji kohort lumazyranu i ECM [Redacted text block]. Zakłada się, że koszt podania na cykl wynosi 0 PLN, ponieważ witamina B6 jest kuracją doustną.

<sup>2</sup> <https://www.gdziepolek.pl/produkty/83207/vitaminum-b6-teva-tabletki/statystyki?pvId=19806>

**Tabela 7.**  
**Koszty leku i podawania witaminy B6 na cykl z perspektywy wspólnej (PLN)**



### 3.1.1. 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*.

### 3.1.2. Modelowanie kosztów

Koszty uwzględnione w niniejszym opracowaniu stanowią wynik przeprowadzonego w *Analizie ekonomicznej* modelowania z uwzględnieniem 3-letniego horyzontu analizy wpływu na budżet. W analizie uwzględniono fakt, że nie wszyscy chorzy rozpoczynają terapię jednocześnie a kwalifikacja do leczenia lumazyranem odbywa się płynnie w czasie całego roku. Stosowanie najlepszego leczenia wspomagającego nie wymaga spełnienia kryteriów kwalifikacji jakie występują w przypadku kwalifikacji chorego do *Programu lekowego B.129.FM*. Tym samym w ramieniu komparatora nie występuje opóźnienie w przyznaniu dostępu do leczenia. W związku z powyższym w ramieniu komparatora (najlepsze leczenie wspomagające) przyjęto, iż wszyscy chorzy rozpoczynają leczenie jednocześnie.

W tabeli poniżej przedstawiono sposób naliczania kosztów w ramieniu interwencji (lumazyran), który następnie krótko omówiono.

**Tabela 8.**  
**Odsetek chorych leczonych w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w ciągu roku**

| Miesiąc | Odsetek chorych włączanych w danym miesiącu | Liczba możliwych miesięcy leczenia w 1. roku |  |  |
|---------|---------------------------------------------|----------------------------------------------|--|--|
| 1       | 8,33%                                       | 12                                           |  |  |
| 2       | 8,33%                                       | 11                                           |  |  |
| 3       | 8,33%                                       | 10                                           |  |  |
| 4       | 8,33%                                       | 9                                            |  |  |
| 5       | 8,33%                                       | 8                                            |  |  |
| 6       | 8,33%                                       | 7                                            |  |  |
| 7       | 8,33%                                       | 6                                            |  |  |
| 8       | 8,33%                                       | 5                                            |  |  |
| 9       | 8,33%                                       | 4                                            |  |  |
| 10      | 8,33%                                       | 3                                            |  |  |
| 11      | 8,33%                                       | 2                                            |  |  |
| 12      | 8,33%                                       | 1                                            |  |  |

W pierwszej kolumnie powyższej tabeli przedstawiono okres w ciągu roku, w którym chory przystępuje do leczenia, w drugiej kolumnie znajdują się udziały chorych odzwierciedlające równomierną zachorowalność (i rozpoczęcie terapii przez chorych) w ciągu roku. W trzeciej kolumnie przedstawiono liczbę możliwych miesięcy leczenia chorego w pierwszym roku w zależności od momentu rozpoczęcia leczenia.

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

**Tabela 9.**  
**Koszty ponoszone w terapii lumazyranem w zależności od roku rozpoczęcia leczenia – pers. płatnika publicznego z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka (PLN)**



i 2026 roku ponoszony w 2026 roku. W drugim roku horyzontu analizy BIA uwzględniono koszt leczenia chorych, którzy rozpoczęli stosowanie lumazyranem w 2022, 2023, 2024, 2025, 2026 i 2027 roku ponoszony w 2027 roku itd.

### 3.1.3. Podsumowanie kosztów

W poniższych tabelach przedstawiono podsumowanie średnich kosztów rocznych.

W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone w terapii lumazyranem u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia.

**Tabela 10.**

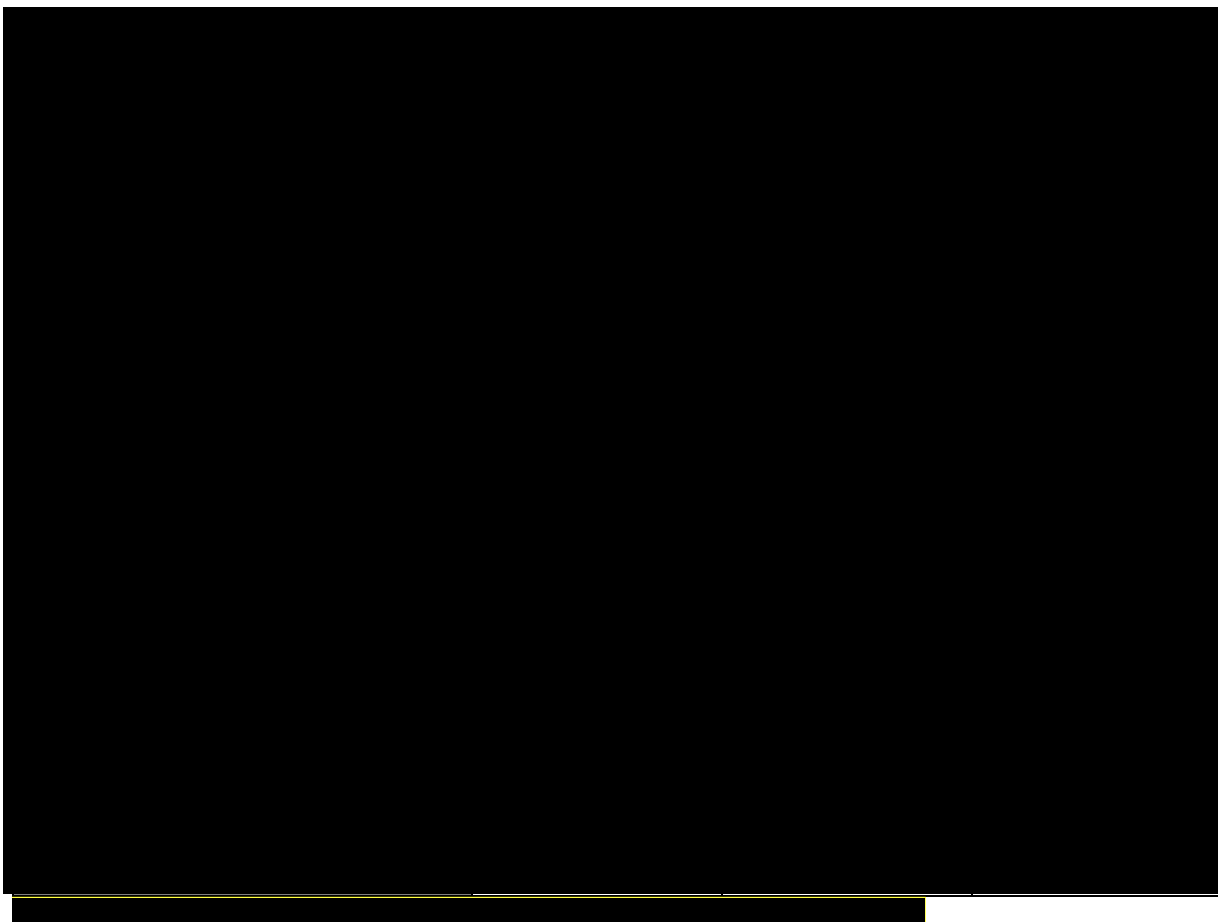
**Koszty ponoszone w terapii lumazyranem u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia – pers. płatnika publicznego (PLN) – wariant prawdopodobny**



W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone na lek Oxlumo® w terapii lumazyranem u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia.

**Tabela 11.**

**Koszty ponoszone na lek Oxlumo® w terapii lumazyranem u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia – pers. płatnika publicznego (PLN)**

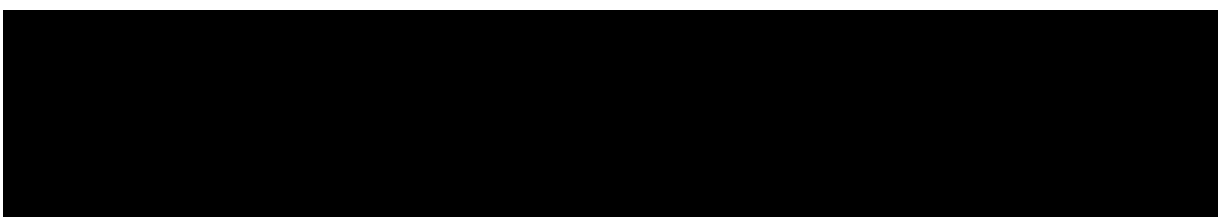


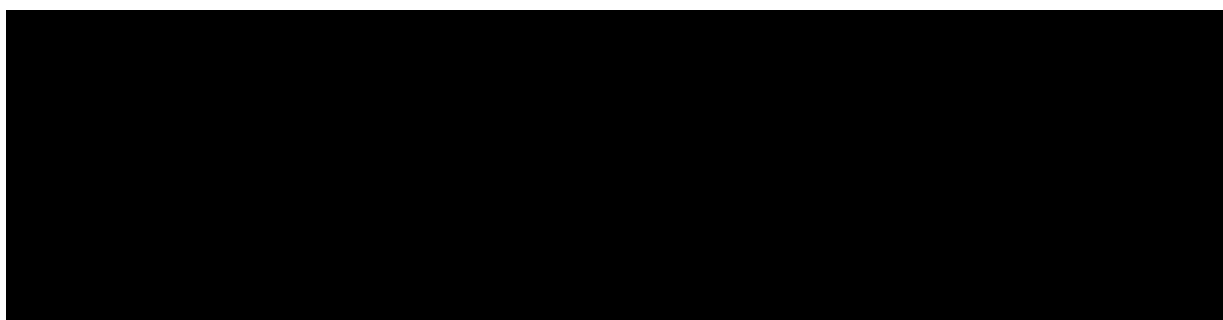
W perspektywie wspólnej koszty ponoszone na lek Oxlumo® są tożsame z kosztami w perspektywie płatnika publicznego.

W poniższej tabeli przedstawiono średnie koszty roczne ponoszone w terapii komparatorem u chorych w populacji docelowej.

**Tabela 12.**

**Koszty ponoszone w terapii komparatorem w zależności od roku rozpoczęcia leczenia (PLN)**





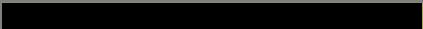
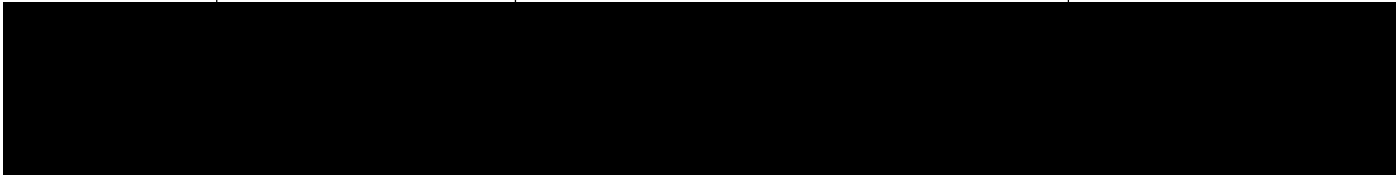
### **3.2. Podsumowanie danych wejściowych**

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 13.**  
**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                              | 3 lata                                  | 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 2.5.3.                         | Rozdział 2.5.3.                                                                                        | Rozdział 2.5.3.                            | Rozdział 2.5.3.                      |
|                                                       |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
|                                                       |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
| Dawkowanie leków                                      | Rozdział 3.1.1                          | Rozdział 3.1.1                                                                                         | Rozdział 3.1.1                             | Rozdział 3.1.1                       |
| Parametry kosztowe                                    |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
|                                                       |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |
|                                                       |                                         |                                                                                                        |                                            |                                      |

| 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>                                           |                                         |                                                                                                        |     |                                                                                                                                                                                                                         |                                      |
| Uwzględnienie kosztu podania wnioskowanej technologii | Tak                                     | alter                                                                                                  | Nie | W analizie podstawowej uwzględniono koszt podania wnioskowanej technologii.<br>W analizie wrażliwości testowano jak na wyniki analizy wpływu na budżet wpływa nieuwzględnienie kosztu podania wnioskowanej technologii. | Założenie                            |
| Uwzględnienie kosztów społecznych                     | Nie                                     | alter                                                                                                  | Tak | W analizie podstawowej nie uwzględniono kosztów społecznych.<br>W analizie wrażliwości testowano jak na wyniki analizy wpływu na budżet wpływa uwzględnienie kosztów społecznych.                                       | Założenie                            |
| Uwzględnienie kosztów opiekunów sprawujących opiekę   | Nie                                     | alter                                                                                                  | Tak | W analizie podstawowej nie uwzględniono kosztów opiekunów.<br>W analizie wrażliwości testowano jak na wyniki analizy wpływu na budżet wpływa uwzględnienie kosztów opiekunów.                                           | Założenie                            |
| Koszty                                                | n/d                                     | n/d                                                                                                    |     | n/d                                                                                                                                                                                                                     | Analiza ekonomiczna                  |

| Parametr                                                                          | Wartość parametru z analizy podstawowej                                            | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności | Źródła danych dla wartości parametru |
|-----------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------|--------------------------------------|
| Pozostałe parametry                                                               |                                                                                    |                                                                                                        |                                            |                                      |
| Liczba dni w roku                                                                 | 365,25                                                                             | n/d                                                                                                    | n/d                                        | Założenie                            |
| Liczba dni w miesiącu                                                             | 30,44                                                                              | n/d                                                                                                    | n/d                                        | Założenie                            |
|  |  |                                                                                                        |                                            |                                      |

### 3.3. 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, które są tożsame z wydatkami w perspektywie wspólnej. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

#### 3.3.1. 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<sup>4</sup>. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą około [REDACTED] PLN w skali roku, składowa wydatków stanowiąca refundację ceny wnioskowanej technologii wynosi około [REDACTED] PLN.

#### 3.3.2. Prognozowane wydatki budżetowe

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym, z perspektywy płatnika publicznego z RSS oraz bez RSS.

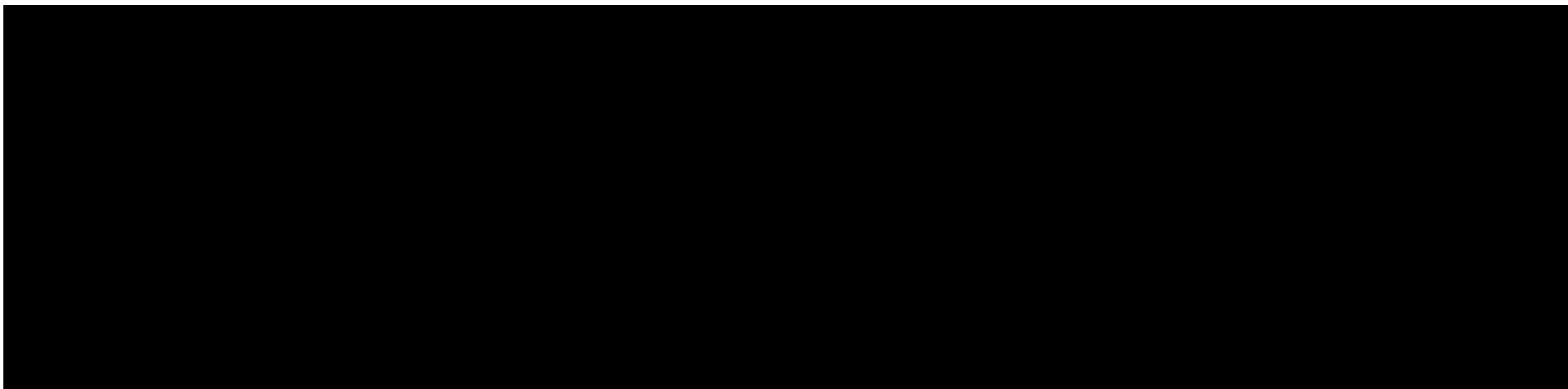
---

<sup>4</sup> W niniejszej analizie scenariusz istniejący dla 2026, 2027 i 2028 roku obrazuje sytuację, w której wnioskowana technologia nie będzie dłużej refundowana. Scenariusz istniejący dla 2025 roku dotyczy sytuacji, w której wnioskowana technologia jest dalej refundowana.

---

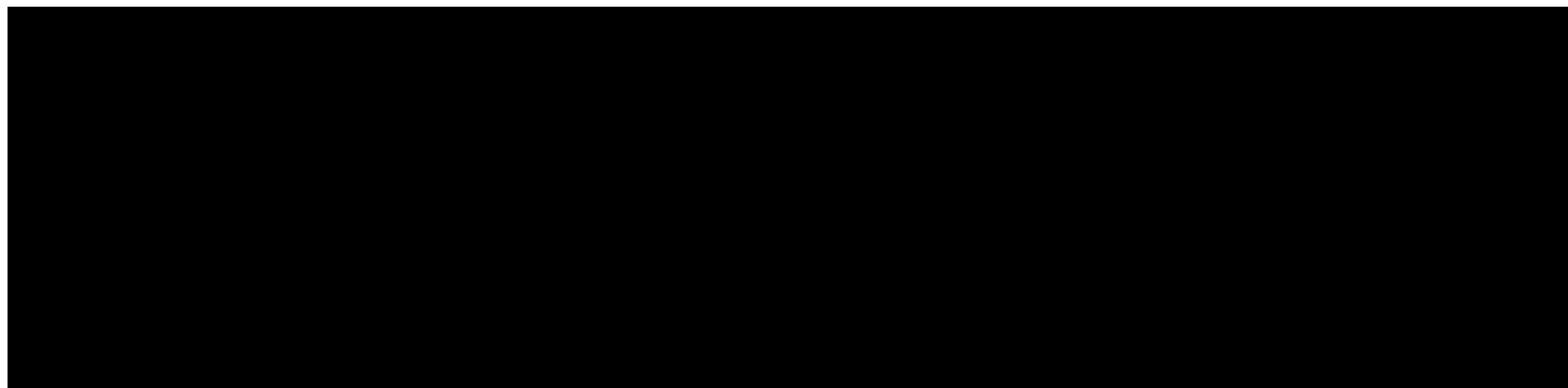
**Tabela 14.**

**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS (PLN)**



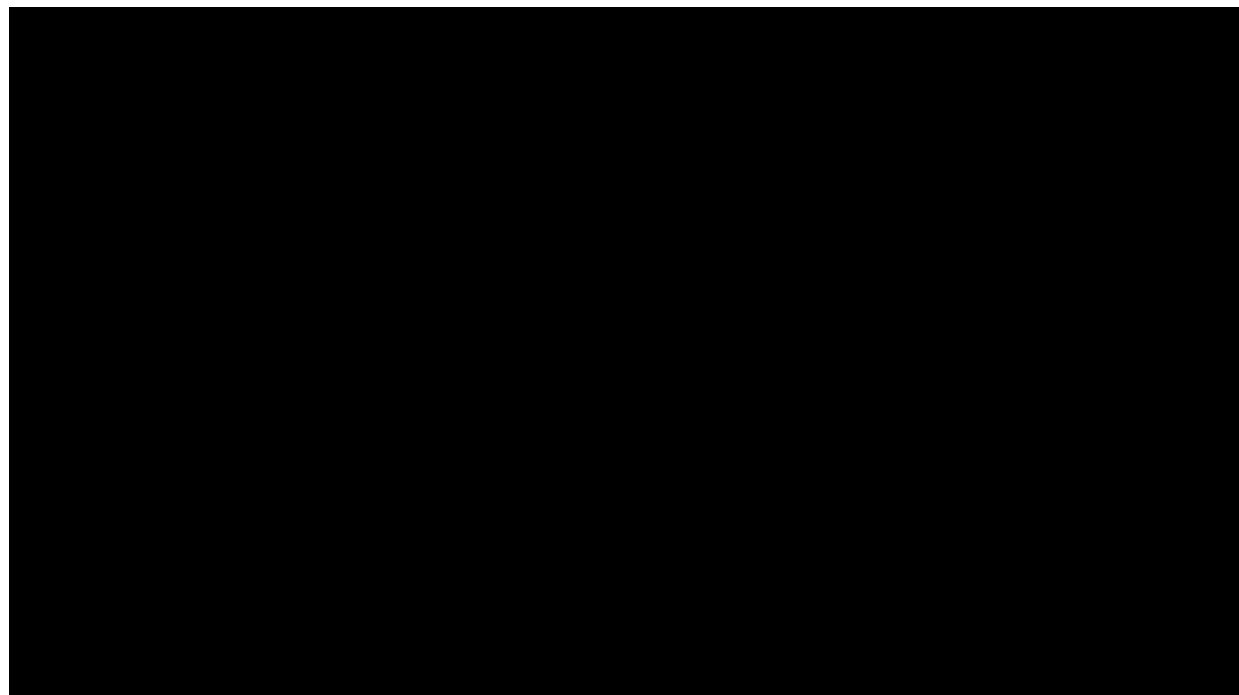
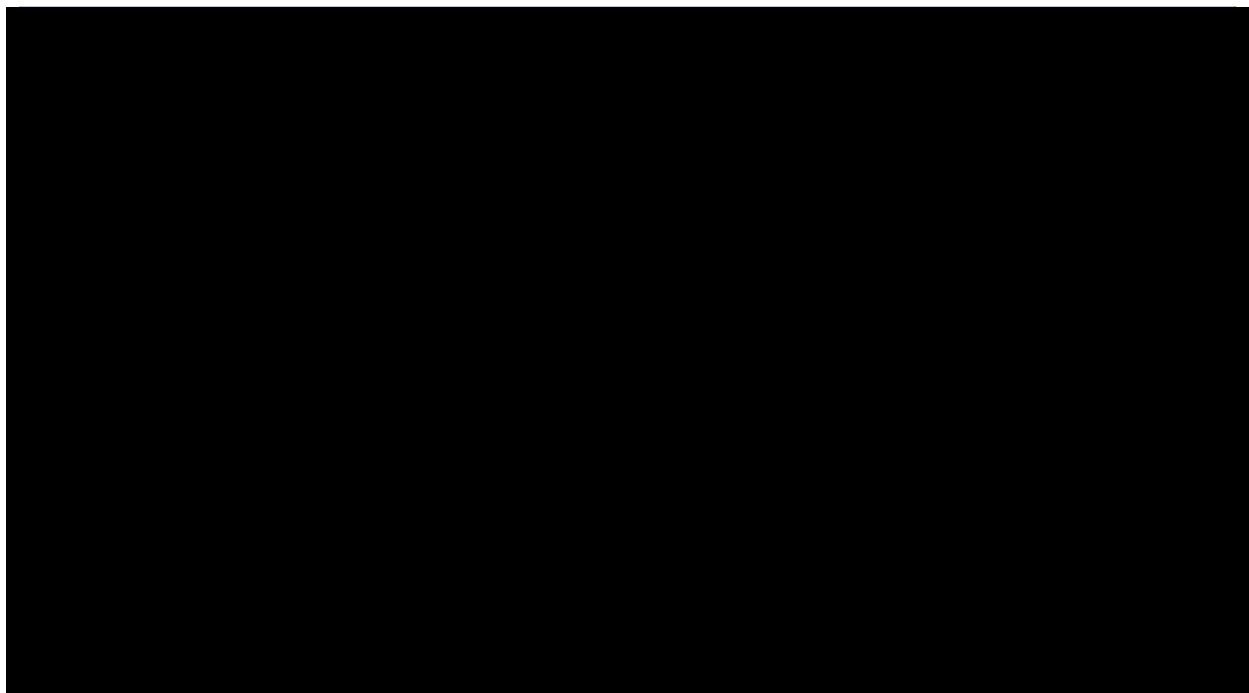
**Tabela 15.**

**Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS (PLN)**





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



## 4. Analiza wrażliwości

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

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

Parametry użyte w analizie wrażliwości oraz warianty testowane w analizie scenariuszy, wraz z zakresem zmienności, źródłem danych oraz uzasadnieniem zakresów zmienności, wskazano w rozdziale 3.1.1

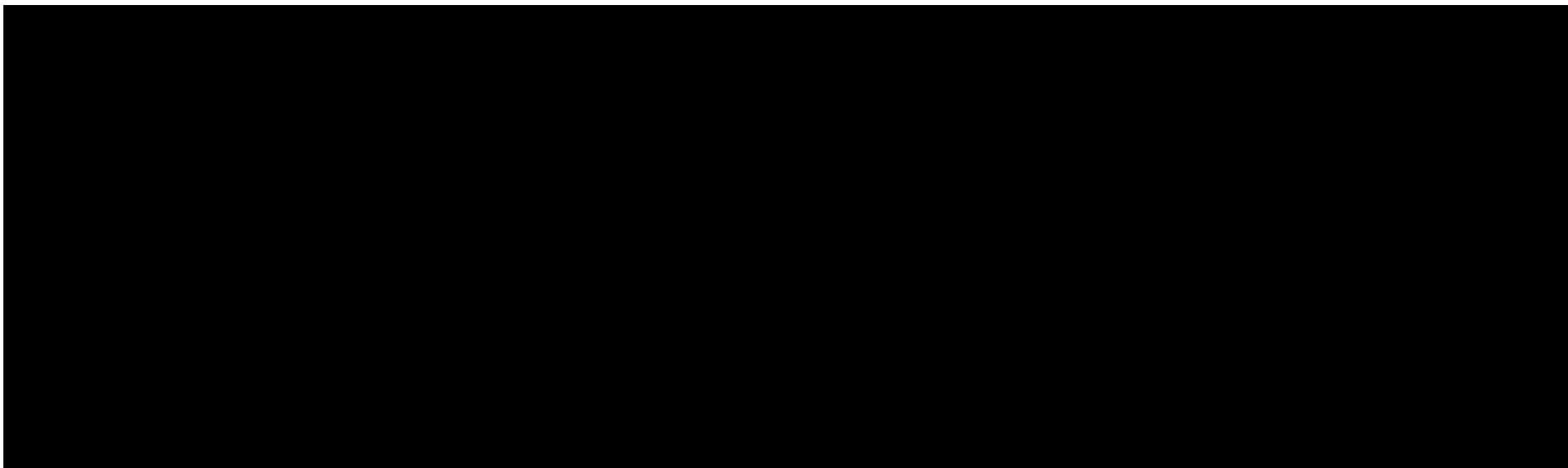
Wyniki analizy wrażliwości w perspektywie wspólnej są zbliżone do wyników z perspektywy płatnika publicznego. W związku z tym w poniższych tabelach przedstawiono wyniki z perspektywy płatnika publicznego.

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

Wyniki analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy przedstawiono w poniższych tabelach

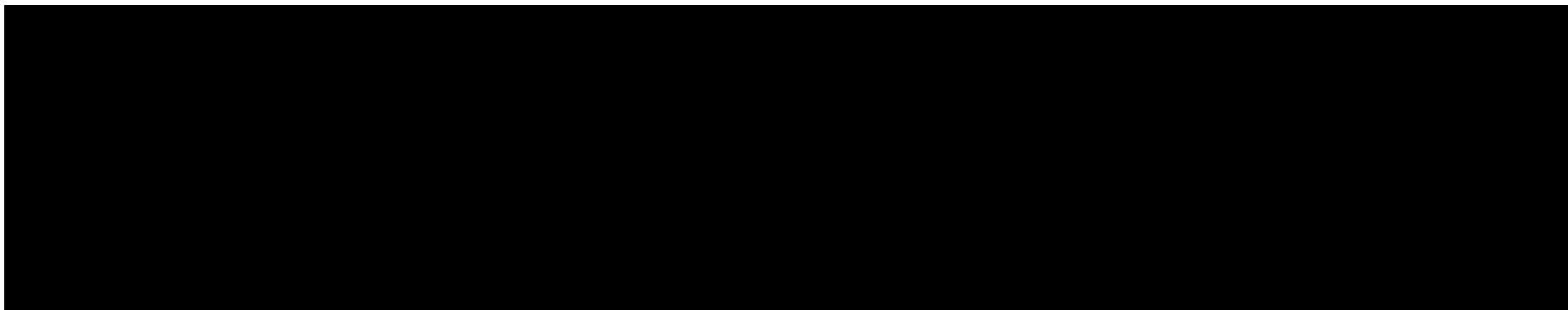
**Tabela 16.**

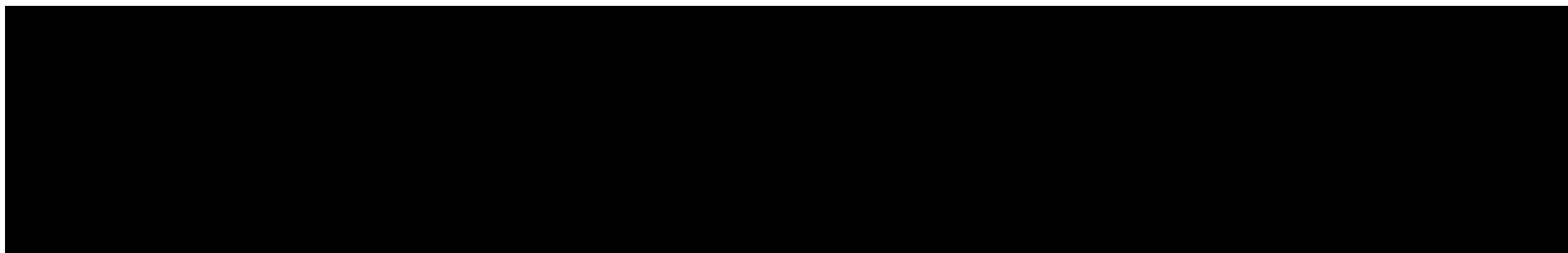
**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego z RSS**



**Tabela 17.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego bez RSS**





## 5. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Oxlumo® (lumazyranu) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1, w ramach *programu lekowego*, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

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

## 6. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Jest to nowy standard postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba społeczna na wprowadzenie skutecznej terapii. Aktualnie w Polsce jest dostępna jedna technologia refundowana w leczeniu zapobiegawczym pierwotnej hiperoksalurii typu 1 i jest nią lek Oxlumo®.

Lek Oxlumo® znalazł się na pierwszym wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności finansowanych z Funduszu Medycznego. Opinia Rady Przejrzystości nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 roku w sprawie listy technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności przygotowywanej przez Ministra Zdrowia wskazała 11 substancji, które należy traktować priorytetowo. Lumazyran jest jedną z tych substancji, co dodatkowo potwierdzą silną potrzebę utrzymania refundacji tej innowacyjnej terapii genetycznej mogącej prowadzić do radykalnej poprawy przebiegu pierwotnej hiperoksalurii typu 1.

Decyzja dotycząca kontynuacji refundacji produktu Oxlumo®, dotyczy wyłącznie chorych kwalifikujących się do programu lekowego, a zatem pacjentów 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 dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

**Tabela 18.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

| Warunek                                                                                                                                     | Wartość                                |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------|
| Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;                                     | Żadne                                  |
| Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;                                                | Tak                                    |
| Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;                                                 | Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych |
| Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia. | Tak                                    |
| <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>                                                                                        |                                        |
| nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,                                                                    | Nie                                    |
| czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;                                                                                | Nie                                    |
| oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.                                                                                           | Nie                                    |
| <b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>                                                                     |                                        |
| 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                                    |

## 7. Założenia i ograniczenia

W analizie przyjęto, że chorzy na pierwotną hiperoksalurię typu 1 są obecnie monitorowani tak samo często jak zakładają zapisy wnioskowanego programu lekowego. Ewentualne różnice w

częstościach wykonywanych badań uznano za pomijalne. Ze względu na wysoki koszt terapii niniejsze koszty uznano za pomijalne.

W analizie uwzględniono, że nowodiagnozowani chorzy będą stopniowo, w ciągu całego roku, kwalifikowani do leczenia w programie lekowym. W scenariuszu, w którym lumazyran nie będzie dłużej refundowany wszyscy chorzy zmieniają leczenie na najlepsze leczenie wspomagające.

Całkowite koszty uwzględniane w poszczególnych scenariuszach (wynikające z kosztów różniących leczenia), wyznaczono na podstawie: koszty leków, koszt programu lekowego, koszty przepisania i podania leków, koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia, koszt dializy, koszt leczenia zdarzeń ostrych PH1, koszty leczenia zdarzeń niepożądanych, koszt opieki paliatywnej, koszty transplantacji, koszt leczenia powikłań ogólnoustrojowych.

[Redacted text block]

W analizie przyjęto 3-letni horyzont czasowy (obejmujący okres od kwietnia 2026 do końca marca 2029 roku) zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 2.2.

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach istniejącej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 9.1. Podstawę limitu w tej grupie limitowej stanowić będzie lek Oxlumo®. Podejście takie jest zgodne z zapisami *Ustawy refundacyjnej*.

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

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

## 8. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o kontynuowaniu refundacji lumazyranu (Oxlumo®) w ramach kategorii dostępności lek stosowany w programie lekowym

Wskazanie wnioskowane obejmuje wskazanie określone w *ChPL Oxlumo®*. Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie (populacja docelowa) obejmuje dzieci i dorosłych pacjentów z PH1.

Szacunki opierają się na następujących informacjach:

- Ponieważ świadomość choroby i doświadczenie w leczeniu wzrastają, oczekuje się, że liczba pacjentów będzie nieco wyższa niż prawdopodobny scenariusz przedstawiony w poprzedniej analizie wpływu na budżet;



Z uwagi na zaobserwowany trend wzrostowy w odniesieniu do zachorowalności wykonano prognozę liczebności populacji docelowej w kolejnych latach wcześniej zdefiniowanego horyzontu czasowego analizy.

Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy obrazuje sytuację obecną, w której lumazyran nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego, a w drugim analizowano sytuację, w której lumazyran stosowany w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 będzie finansowany ze środków publicznych. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta. Analizę wykonano dla okresu 3 lat, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową. Uwzględniono:

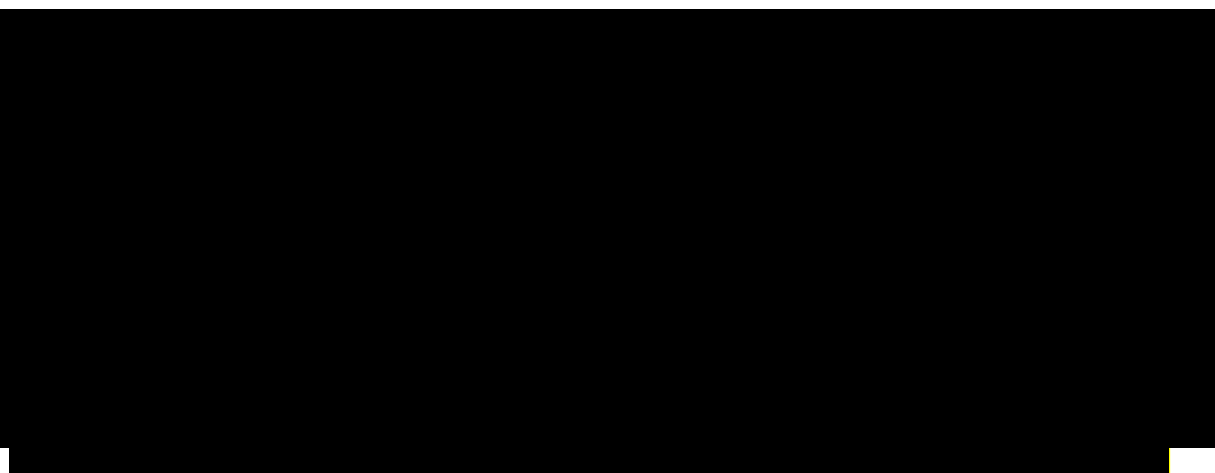
- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszt programu lekowego;
- ⊕ koszty przepisania i podania leków;
- ⊕ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia;
- ⊕ koszt dializy;
- ⊕ koszt leczenia zdarzeń ostrych PH1;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszt opieki paliatywnej;
- ⊕ koszty transplantacji;
- ⊕ koszt leczenia powikłań ogólnoustrojowych.



W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Cenę zbytu netto substancji otrzymano od Wnioskodawcy.

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

### Oszacowanie populacji



Prognozowana łączna liczba chorych w populacji docelowej wynosi w 3-letnim horyzoncie analizy: ■. Wielkość ta stanowi o pełnym potencjale rynkowym leku dla wnioskowanego wskazania refundacyjnego.

Bezpośrednią konsekwencją tej decyzji będzie kontynuowanie w Polsce praktyki klinicznej leczenia chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1. Lekarze nadal będą posiadali dostęp do terapii dedykowanej chorym na pierwotną hiperoksalurię typu 1, będą mogli skorzystać z terapii lekiem Oxlumo®. Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w przeciągu trzech lat refundacji z terapii substancją skorzysta prawdopodobnie około ■ chorych. W konsekwencji finansowanie leku Oxlumo® zapewni chorym na pierwotną hiperoksalurię typu 1 dostęp do skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. ■

■

■

■

■

■

[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).

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Oxlumo® należy oczekiwać dużej korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione.

## 9. Załączniki

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

Zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* lek Oxlumo® jest aktualnie finansowany w ramach grupy limitowej 1238.0, *Lumazyran*. Dostępna jest jedna prezentacja leku, która stanowi we wspomnianej grupie podstawę limitu. Niniejszy wniosek dotyczy odnowienia decyzji refundacyjnej dla wspomnianej prezentacji leku Oxlumo®.

Na podstawie art. 15 ust. 2. pkt 1 *Ustawy refundacyjnej* należy więc stwierdzić, iż lek Oxlumo® spełnia kryteria kwalifikacji do już istniejącej grupy limitowej ze względu na obecność tej samej nazwy międzynarodowej w porównaniu do już refundowanego w Polsce produktu leczniczego Oxlumo®. W odniesieniu do prezentacji już refundowanej w ramach wskazanej grupy limitowej 1238.0, *Lumazyran* niniejszy wniosek obejmuje odnowienie decyzji refundacyjnej dla dostępnej prezentacji leku.

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

**Tabela 19.**

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

| Nr   | Zadanie                                                                                                                                                                           | Tak/Nie/nie dotyczy  |
|------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|
| 1.   | Oszacowanie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                         | n/d                  |
| 1.1. | obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana                                                                                          | TAK, rozdział 2.5.1. |
| 1.2. | docelowej, wskazanej we wniosku                                                                                                                                                   | TAK, rozdział 2.5.2. |
| 1.3. | w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana                                                                                                                           | TAK, rozdział 2.5.3. |
| 1.4. | w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny                       | TAK, rozdział 2.5.4. |
| 2.   | Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku | TAK, rozdział 3.3.   |

| Nr    | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                          | Tak/Nie/nie dotyczy                                                                      |
|-------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------|
| 2.1.  | Aktualnych                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | TAK, rozdział 3.3.1.                                                                     |
| 2.2.  | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje                                                                                                                                                                                                     | TAK, rozdział 3.3.1.                                                                     |
| 3.    | Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny  | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 3.1.  | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii                                                                                                                                                                                                                      | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 4.    | Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 4.1.  | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,                                                                                                                                                                                                                     | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 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 3.3.2.                                                                     |
| 5.1.  | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii                                                                                                                                                                                                                      | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 6.    | Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych                                                                                                                                                                          | TAK, rozdział 3.3.2.                                                                     |
| 8.    | Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                  | TAK, rozdział 3.                                                                         |
| 9.    | Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                           | TAK, rozdział 7.                                                                         |
| 9.1.  | wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu                                                                                                                                                                                      | TAK, rozdział 7.                                                                         |
| 10.   | Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz                                                                                                                                                                                                        | TAK                                                                                      |
| 11.   | Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet                                                                                                                                                                                                             | TAK                                                                                      |
| 12.   | Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                                                                                            | TAK                                                                                      |
| 12.1. | w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane<br>(w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)                                                                                                          | n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji |
| 13.   | Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> <li>z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> </ul>                                  | TAK                                                                                      |

| Nr    | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            | Tak/Nie/nie dotyczy |
|-------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------|
|       | <ul style="list-style-type: none"> <li>bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |                     |
| 13.1. | <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></li> </ul> <p>(jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</p> <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></li> </ul> <p>(jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</p> | TAK, rozdział 9.1.  |

## 10. Spis tabel

|                                                                                                                                                                                 |    |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| .....                                                                                                                                                                           | 16 |
| .....                                                                                                                                                                           | 17 |
| Tabela 3. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w<br><i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....                                         | 18 |
| Tabela 4. Wycena średniej wartości punktu, w zależności od świadczenia, na podstawie<br>Informatora o umowach NFZ za 2025 rok.....                                              | 19 |
| <b>Tabela 5. Dawkowanie leku Oxlumo®</b> .....                                                                                                                                  | 20 |
| .....                                                                                                                                                                           | 21 |
| <b>Tabela 7. Koszty leku i podawania witaminy B6 na cykl z perspektywy wspólnej<br/>(PLN)</b> .....                                                                             | 22 |
| Tabela 8. Odsetek chorych leczonych w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w<br>ciągu roku.....                                                                            | 23 |
| Tabela 9. Koszty ponoszone w terapii lumazyranem w zależności od roku rozpoczęcia<br>leczenia – pers. płatnika publicznego z uwzględnieniem umowy podziału<br>ryzyka (PLN)..... | 24 |
| Tabela 10. Koszty ponoszone w terapii lumazyranem u chorych w zależności od roku<br>rozpoczęcia leczenia – pers. płatnika publicznego (PLN) – wariant<br>prawdopodobny .....    | 25 |
| Tabela 11. Koszty ponoszone na lek Oxlumo® w terapii lumazyranem u chorych w<br>zależności od roku rozpoczęcia leczenia – pers. płatnika publicznego (PLN)<br>.....             | 26 |
| Tabela 12. Koszty ponoszone w terapii komparatorem w zależności od roku rozpoczęcia<br>leczenia (PLN).....                                                                      | 26 |
| Tabela 13. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....                                                                                                         | 28 |

---

|                                                                                                                                                                                    |    |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 14. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS (PLN) .....                                                                     | 32 |
| Tabela 15. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS (PLN) .....                                                                    | 32 |
| Tabela 16. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego z RSS .....                                                                      | 35 |
| Tabela 17. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego bez RSS .....                                                                    | 35 |
| Tabela 18. Aspekty społeczne i etyczne .....                                                                                                                                       | 38 |
| Tabela 19. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> ..... | 43 |

---

## 11. Spis rysunków

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

|            |         |
|------------|---------|
| [REDACTED] |         |
| [REDACTED] | ...33   |
| [REDACTED] |         |
| [REDACTED] |         |
| [REDACTED] | .....33 |



## 12. Bibliografia

| Publikacja/Źródło danych                         | Referencje                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         |
|--------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Analiza ekonomiczna                              | Oxlumo® (lumazyran) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 - analiza ekonomiczna, MAHTA 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
| Analiza kliniczna                                | Oxlumo® (lumazyran) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 – analiza kliniczna, MAHTA, Warszawa 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |
| Analiza problemu decyzyjnego                     | Oxlumo® (lumazyran) w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 – analiza problemu decyzyjnego, MAHTA, Warszawa 2025                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |
| ChPL Oxlumo                                      | Charakterystyka Produktu Leczniczego Oxlumo®                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       |
| Cochat 2012                                      | Cochat P, Hulton SA, Acquaviva C, i in. <i>Primary hyperoxaluria type 1: indications for screening and guidance for diagnosis and treatment. Nephrol Dial Transplant.</i> May 2012;27(5):1729-36.                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
|                                                  |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    |
| Garrelfs 2021                                    | Garrelfs S.F., Frishberg Y., Hulton S.A., i in., <i>Lumasiran, an RNAi Therapeutic for Primary Hyperoxaluria Type 1</i> , „New England Journal of Medicine” t. 384 nr 13 (2021), DOI: 10.1056/NEJMoa2021712                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
| Informator o umowach NFZ                         | Informator o umowach NFZ <a href="https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search">https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search</a> (data dostępu 12.11.2025)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |
| Milliner 2022                                    | Milliner D.S., Harris P.C., Sas D.J. I in., <i>Primary Hyperoxaluria Type 1</i> , „GeneReviews®”, 2022                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |
| 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 |
| Sprawozdania NFZ                                 | Uchwały Rady NFZ w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za I kwartał 2022 - IV kwartał 2024 r <a href="https://www.nfz.gov.pl/zarzadzania-prezesa/uchwaly-rady-nfz/">https://www.nfz.gov.pl/zarzadzania-prezesa/uchwaly-rady-nfz/</a> (data dostępu 04.11.2025)                                                                                                                                                                                    |
| Ustawa refundacyjna                              | 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         | Obwieszczenie Marszałka Sejmu Rzeczypospolitej Polskiej z dnia 26 września 2025 r. w sprawie ogłoszenia jednolitego tekstu ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, Dz.U. 2025 poz. 1461                                                                                                                                                                                                                                                                     |
| Wykaz leków refundowanych                        | Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 września 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2025 r.                                                                                                                                                                                                                                                                                       |
| Wytyczne AOTMiT                                  | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                   |
| Zarządzenie ambulatoryjna opieka specjalistyczna | Zarządzenie nr 60/2025/DSOZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |
| Zarządzenie leczenie szpitalne                   | Zarządzenie nr 57/2025/DSOZ zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne                                                                                                                                                                                                                                                                                            |

| Publikacja/Źródło danych                                | Referencje                                                                                                                                                                                                    |
|---------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Zarządzenie opieka psychiatryczna i leczenie uzależnień | Zarządzenie nr 18/2025/DSOZ z dnia 17 marca 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju opieka psychiatryczna i leczenie uzależnień |
| Zarządzeniem opieka paliatywna i hospicyjna             | Zarządzenie nr 54/2024/DSOZ z dnia 29 maja 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hospicyjna                                                        |
| Zarządzenie programu lekowe                             | Zarządzenie nr 87/2025/DGL z dnia 31 października 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowe                                  |
| ZUS 2022                                                | ZUS. <i>Raport świadczeń emerytalno-rentowych w latach 2019-2021</i> . 2022.                                                                                                                                  |