



IGNORANTIA NOCET

# Ayvakt® (awaprytynib) w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.0

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:  
Swixx Biopharma Sp. z o.o.

Warszawa, 04.03.2026 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 02-661  
ul. Modra 90/111

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

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

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

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

| Autorzy    | Wykonywane zadania                                                                                                                                                                                                                                                                       |
|------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> </ul>                                                                                                                                                                                      |
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                    |
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> <li>⊗ Opis kosztów;</li> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne</li> <li>⊗ Wnioski końcowe</li> </ul> |
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Modelowanie kosztów</li> <li>⊗ Ograniczenia</li> </ul>                                                         |
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Analiza wrażliwości</li> </ul>                                                                                                                                                                                                                  |
| [REDACTED] | <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Opracowywanie wyników</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 Swixx Biopharma 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>12</b> |
| <b>2. Analiza wpływu na budżet.....</b>                                                                                                                                    | <b>13</b> |
| 2.1. Metodyka analizy .....                                                                                                                                                | 13        |
| 2.2. Horyzont czasowy .....                                                                                                                                                | 14        |
| 2.3. Perspektywa .....                                                                                                                                                     | 14        |
| 2.4. Scenariusze porównywane .....                                                                                                                                         | 15        |
| 2.5. Populacja .....                                                                                                                                                       | 16        |
| 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia<br>wnioskowana może zostać zastosowana.....                                                          | 16        |
| 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....                                                                                                                       | 18        |
| 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....                                                                                            | 22        |
| 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.....     | 22        |
| 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..... | 23        |
| 2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w<br>minimalnych wymaganiach .....                                                                      | 24        |
| 2.6. Analiza kosztów .....                                                                                                                                                 | 24        |

---

---

|                                                                                                                                                |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| 2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz technologii<br>opcjonalnych.....                                               | 25        |
| 2.6.1. Zestawienie kosztów leków .....                                                                                                         | 28        |
| 2.6.2. Pozostałe kategorie kosztowe .....                                                                                                      | 29        |
| 2.6.3. Modelowanie kosztów .....                                                                                                               | 29        |
| 2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....                                                                                                      | 33        |
| 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....                                                                                               | 36        |
| 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe .....                                                                                                        | 36        |
| 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe .....                                                                                                    | 36        |
| <b>3. Analiza wrażliwości .....</b>                                                                                                            | <b>39</b> |
| <b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....</b>                                                                                       | <b>52</b> |
| <b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>                                                                                                    | <b>52</b> |
| <b>6. Ograniczenia.....</b>                                                                                                                    | <b>54</b> |
| <b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>                                                                                                 | <b>56</b> |
| <b>8. Załączniki .....</b>                                                                                                                     | <b>59</b> |
| 8.1. Uzasadnienie finansowania / utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii<br>wnioskowanej w ramach istniejącej grupy limitowej..... | 59        |
| 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w<br>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań.....               | 60        |
| <b>9. Spis tabel .....</b>                                                                                                                     | <b>62</b> |
| <b>10. Spis rysunków .....</b>                                                                                                                 | <b>65</b> |
| <b>11. Bibliografia.....</b>                                                                                                                   | <b>66</b> |

---

## Indeks skrótów

| Skrót  | Rozwinięcie                                                                                          |
|--------|------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| AdvSM  | ang. <i>Advanced Systemic Mastocytosis</i> – Zaawansowana mastocytoza układowa                       |
| AOTMiT | Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji                                                   |
| AWA    | analiza weryfikacyjna AOTMiT                                                                         |
| AVA    | awaprytynib                                                                                          |
| b.d.   | brak danych                                                                                          |
| BSC    | ang. <i>best supportive care</i> – najlepsze leczenie wspomagające                                   |
| CHB    | cena hurtowa brutto                                                                                  |
| ChPL   | Charakterystyka Produktu Leczniczego                                                                 |
| CI     | ang. <i>confidence interval</i> – przedział ufności                                                  |
| CZN    | cena zbytu netto                                                                                     |
| EAN    | ang. <i>European Article Number</i> – Europejski Kod Towarowy                                        |
| EMA    | ang. <i>European Medicines Agency</i> – Europejska Agencja Leków, dawniej używanym skrótem jest EMEA |
| ISM    | ang. <i>indolent systemic mastocytosis</i>                                                           |
| GIST   | ang. <i>gastrointestinal stromal tumours</i> – nowotwory podścieliskowe przewodu pokarmowego         |
| HTA    | ang. <i>health technology assessment</i> – ocena technologii medycznych                              |
| ISM    | ang. <i>Indolent Systemic Mastocytosis</i> – indolentna mastocytoza układowa                         |
| M      | ang. <i>Mastocytosis</i> – mastocytoza                                                               |
| 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                                                                             |
| PL     | program lekowy                                                                                       |
| PLC    | placebo                                                                                              |
| PLN    | polski złoty                                                                                         |
| RSS    | ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka                                            |
| SD     | ang. <i>standard deviation</i> – odchylenie standardowe                                              |
| SM     | ang. <i>Systemic Mastocytosis</i> – mastocytoza układowa                                             |
| SSM    | ang. <i>Smoldering Systemic Mastocytosis</i> – tła się mastocytoza układowa                          |
| TSS    | ang. <i>total symptom score</i> – całkowity wynik dot. objawów                                       |

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ayvakyt® (awaprytynib, AVA) stosowanego w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

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

### METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią chorzy na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym. Wskazana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba chorych na wprowadzenie skutecznej terapii.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: stanowiska eksperta klinicznego oraz badań epidemiologicznych i obserwacyjnych.

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

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której awaprytynib nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego w przedmiotowym wskazaniu. W scenariuszu tym, w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym stosowane jest najlepsze leczenie wspomagające (BSC). W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której awaprytynib stosowany we wnioskowanym wskazaniu 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, tj. 1314.0, *Awaprytynib*.

Po dokładnym przeanalizowaniu wyników *Analizy klinicznej* oraz przestudiowaniu aktualnej praktyki klinicznej leczenia (zwłaszcza projektu *Programu lekowego*) w analizie uwzględniono i oceniano następujące kategorie kosztowe ponoszone z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej:

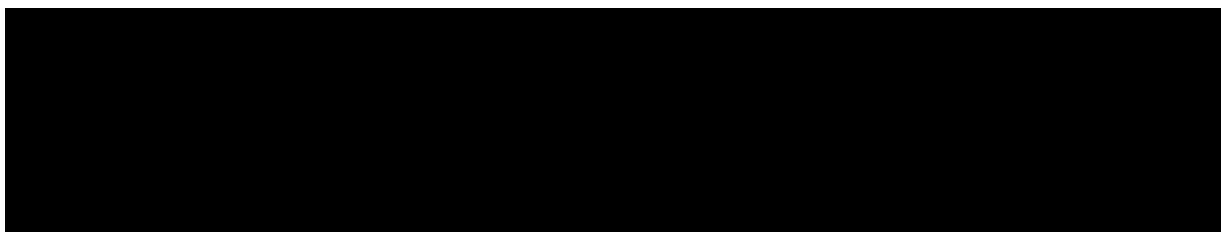
- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- ⊕ koszty zużycia zasobów opieki zdrowotnej (w tym koszt leczenia objawów mastocytozy, koszt opieki nad chorym i koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia);
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty przejścia w stan SSM i AdvSM.

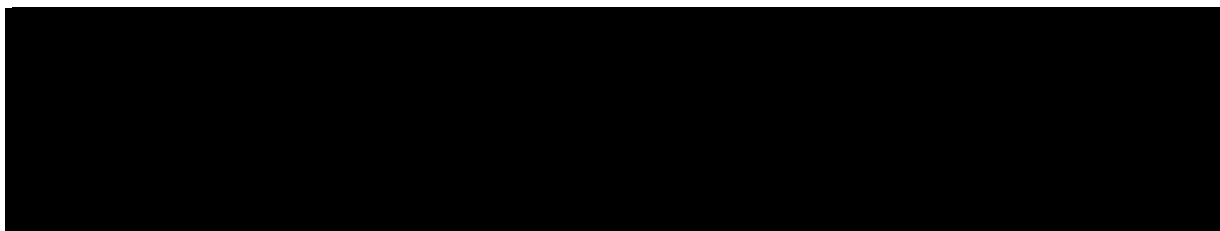
W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Wnioskodawcę umowy podziału ryzyka (RSS).

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego (NFZ) i pacjenta) oraz z perspektywy płatnika publicznego w wariantach uwzględniającym i nieuwzględniającym proponowaną umowę podziału ryzyka. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Dla kluczowych danych wejściowych przeprowadzono analizę wrażliwości.

## WYNIKI

### Oszacowanie populacji





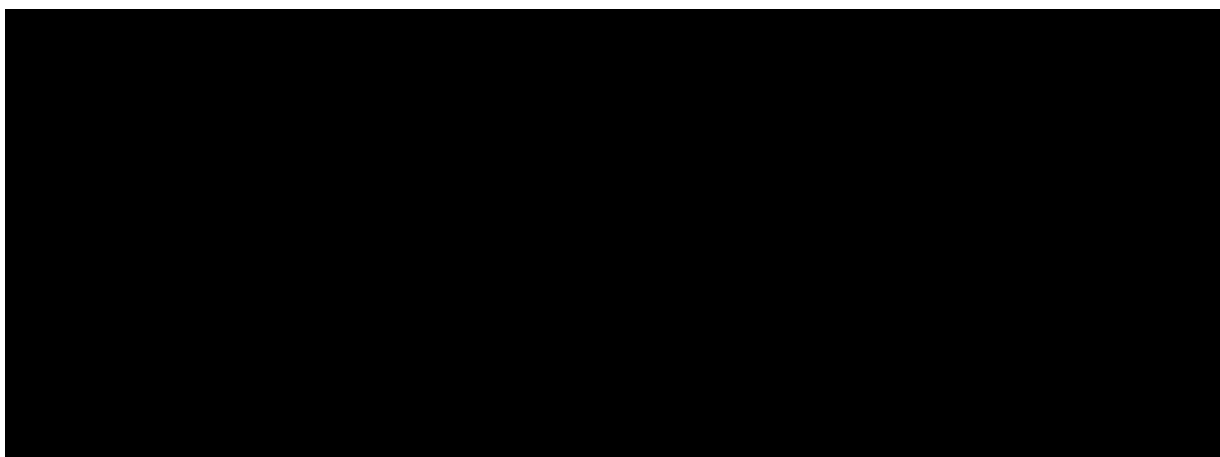
\*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku dla wnioskowanego wskazania refundacyjnego

### Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych awaprytynibu, nastąpi

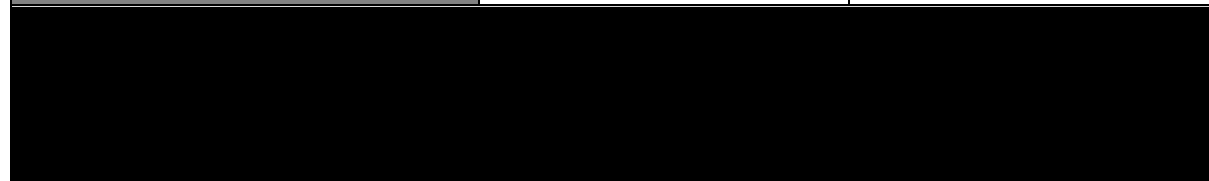


### Wyniki analizy z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS



### Wyniki analizy z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS

| Wariant populacji                         | Wartość inkrementalna w 1. roku analizy | Wartość inkrementalna w 2. roku analizy |
|-------------------------------------------|-----------------------------------------|-----------------------------------------|
| <b>Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)</b> |                                         |                                         |
| Minimalny                                 | 38 220 062                              | 55 313 961                              |
| Prawdopodobny                             | 63 000 102                              | 86 028 772                              |
| Maksymalny                                | 89 880 145                              | 119 695 166                             |



## Wydatki inkrementalne w perspektywie wspólnej

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych awaprytynibu, nastąpi

[REDACTED]

## Wyniki analizy z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS

[REDACTED]

## Wyniki analizy z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS

| Wariant populacji                         | Wartość inkrementalna w 1. roku analizy | Wartość inkrementalna w 2. roku analizy |
|-------------------------------------------|-----------------------------------------|-----------------------------------------|
| <b>Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)</b> |                                         |                                         |
| Minimalny                                 | 38 151 800                              | 55 242 786                              |
| Prawdopodobny                             | 62 887 582                              | 85 920 637                              |
| Maksymalny                                | 89 719 617                              | 119 546 316                             |

[REDACTED]

Wyniki przeprowadzonej jednokierunkowej analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy wskazują, że największy wpływ na wyniki analizy [REDACTED] mają następujące parametry i scenariusze:

[REDACTED]

Zmiana któregośkolwiek z pozostałych parametrów i scenariuszy wpływa na koszt inkrementalny w stopniu mniejszym niż [REDACTED] w perspektywach płatnika publicznego i wspólnej, [REDACTED]. Ponadto, przyjęcie któregośkolwiek alternatywnego scenariusza analizy lub zmiana wartości któregośkolwiek pojedynczego parametru nie powoduje zmiany wnioskowania.

## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o rozszerzenie wskazań, w których refundowany jest lek Ayvakyt® (awaprytynib), znajdujący się na *Wykazie leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności w programie lekowym, o chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku Ayvakyt® będzie udostępnienie chorym nowej opcji terapeutycznej i zwiększenie ich szans na skuteczne leczenie indolentnej mastocytozy układowej z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym. Zgodnie z przedstawionymi szacunkami w pierwszym roku analizy z terapii awaprytynibem skorzysta prawdopodobnie około [REDACTED] chorych, w drugim roku analizy około [REDACTED] chorych. W konsekwencji finansowanie leku Ayvakyt® zapewni chorym na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. [REDACTED]

---

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

W analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Ayvakyt® należy oczekiwać [REDACTED], dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Ayvakyt® przyczyni się do poprawy sytuacji chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym w Polsce, co jest jednym z priorytetów zdrowotnych Ministerstwa Zdrowia (zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych*).

---

---

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ayvakyt® (awaprytynib) w leczeniu indolentnej mastocytozy układowej z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Ayvakyt® 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. Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie wyników *Badania ankietowego* oraz danych epidemiologicznych.
  3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
  4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz koszty najlepszego leczenia wspomagającego (BSC).
  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 refundacyjnej.
  8. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
-

- 
9. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

## 2.2. Horyzont czasowy

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

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od styczeń 2026 do końca grudnia 2027 roku. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest brak alternatywnej technologii refundowanej w rozważanym wskazaniu, w związku z czym lek Ayvakyt® powinien szybko osiągnąć zakładany udział w rynku [REDACTED]

Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu lekowego B.115*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny oraz ogranicza stosowanie technologii medycznej do wybranych ośrodków kontraktujących program lekowy. W tej sytuacji stabilizacja rynku powinna nastąpić w okresie 2 lat od wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej.

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

## 2.3. Perspektywa

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

---

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

## 2.4. Scenariusze porównywane

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

W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu indolentnej mastocytozy układowej z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w istniejącej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1.).

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

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

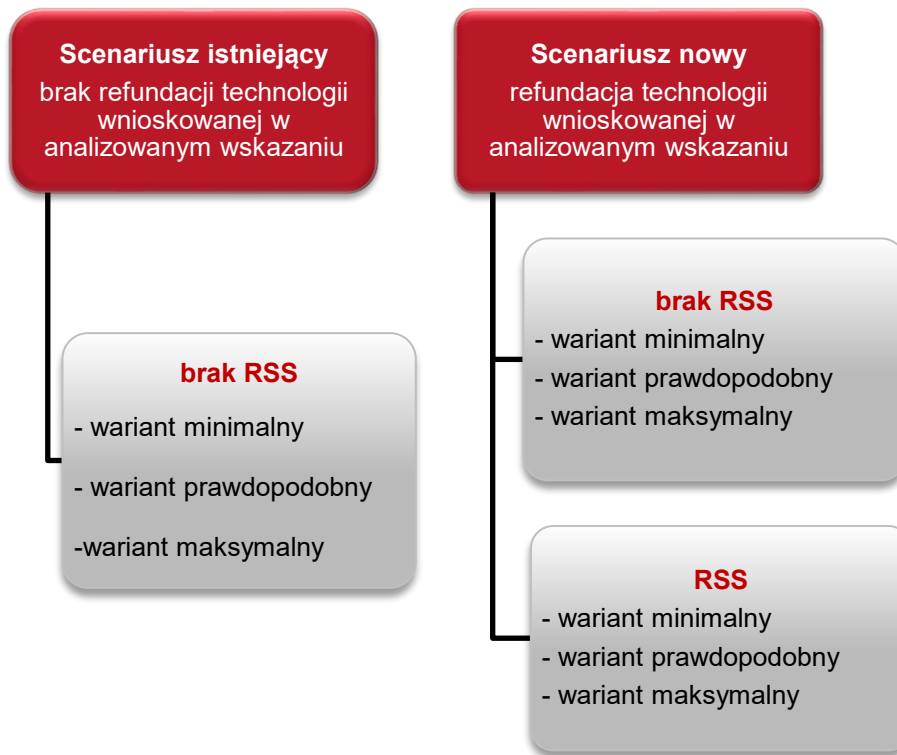
Analizowane scenariusze (istniejący, nowy), wersje (z RSS, bez RSS) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie.

---

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

Rysunek 1.

Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet



## 2.5. Populacja

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

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o ChPL Ayvakyt®. Zgodnie z ChPL Ayvakyt®, awaprytynib wskazany jest w leczeniu:

- ⊕ nieresekcyjnego albo przerzutowego nowotworu podścieliskowego przewodu pokarmowego (ang. *gastrointestinal stromal tumour*, GIST);
- ⊕ zaawansowanej mastocytozy układowej (ang. *advanced systemic mastocytosis*, AdvSM);
- ⊕ indolentnej mastocytozy układowej (ang. *indolent systemic mastocytosis*, ISM).

Zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* lek Ayvakyt® jest obecnie refundowany w leczeniu chorych na zaawansowaną mastocytozę układową.

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

**Tabela 1.**  
**Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana**

| Wskazanie                           | Udział chorych | Obecna liczebność populacji | Liczba nowych chorych (rocznie) | Źródło                                                                                       |
|-------------------------------------|----------------|-----------------------------|---------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------|
| Nieresekcyjny albo przerzutowy GIST | n/d            | 979-1 197                   | 160-190                         | <i>AWA Qinlock</i>                                                                           |
| SM                                  |                |                             | 230                             | <i>Badanie ankietowe, AWA Ayvakyt, GUS 2025</i>                                              |
| W tym AdvSM                         |                |                             | 12-23                           | <i>Badanie ankietowe, Hus 2021</i>                                                           |
| W tym ISM                           |                |                             | 104                             | <i>Badanie ankietowe, Kibsgaard 2020, Amon 2010, Romantowski 2023, AWA Ayvakyt, GUS 2025</i> |
| Łącznie                             |                |                             | <b>276-317</b>                  | n/d                                                                                          |

Dane dotyczące liczebności populacji nierekcyjnego albo przerzutowego GIST przedstawiono w *AWA Qinlock*. W ramach odpowiedzi NFZ przekazanej do MZ na potrzeby uzgadniania treści wnioskowanego programu lekowego przedstawiono dane nt. liczebności pacjentów leczonych imatynibem, sunitynibem i sorafenibem we wskazaniu GIST w ramach katalogu chemioterapii w roku 2024. Ze względu na brak informacji dotyczącej liczby chorych, którzy korzystają z więcej niż jednej terapii, przyjęto zakres, którego wartość minimalna oznacza liczbę chorych korzystających z imatynibu (chorzy są leczeni innymi terapiami równolegle), natomiast wartość maksymalna zakłada, iż każdy chory korzysta wyłącznie z jednej formy terapii. Natomiast zapadalność na GIST w Polsce przyjęto na podstawie danych epidemiologicznych, przedstawionych w tej samej analizie [AWA Qinlock].

Dane dotyczące liczebności populacji SM przyjęto na podstawie liczby chorych w Polsce wskazanej przez eksperta w *Badaniu ankietowym*. Natomiast zachorowalność SM została oszacowana na podstawie danych z *AWA Ayvakyt*, w której wskazano, że zapadalność na mastocytozę szacuje się od 5 do 10 przypadków na 1 mln osób w ogólnej populacji w ciągu roku, co biorąc pod uwagę liczebność dorosłej populacji Polski prognozowanej przez GUS na 2025 rok, tj. 30 681 179 [GUS 2025], przekłada się na liczbę średnio 230 nowych chorych w ciągu roku.

Odsetki dotyczące udziałów chorych na zaawansowaną odmianę mastocytozy (AdvSM) pochodzą z przewodnika autorstwa prof. Marka Husa oraz dr Anety Szudy-Szczyrek [Hus 2021], w którym znajdują się informacje o udziałach poszczególnych podtypów mastocytozy wśród wszystkich chorych na mastocytozę układową. Zaawansowana odmiana obejmuje 5-10% chorych wśród wszystkich chorych na SM. Na podstawie tych odsetków oszacowano zakres liczby chorych oraz zakres rocznej zapadalności na AdvSM w Polsce.

Na podstawie rozmowy z ekspertem klinicznym uzyskano informację na temat liczby chorych odpowiednio z SM oraz z ISM w Polsce; liczba ta wynosi odpowiednio [redacted] chorych [Badanie ankietowe]. Zapadalność na ISM w Polsce, oszacowano na podstawie danych epidemiologicznych przedstawionych w publikacjach *Kibsgaard 2020* (4 chorych na 1 mln mieszkańców), *Amon 2010 i Romantowski 2023* (1,25 chorych na 1 mln mieszkańców) oraz *AWA Ayvakyt* (4,875 chorych na 1 mln mieszkańców). Średnia wartość ze wszystkich publikacji wynosi 3,38 chorych na 1 mln mieszkańców, co biorąc pod uwagę liczebność dorosłej populacji Polski prognozowanej przez GUS na 2025 rok, przekłada się na liczbę ok. 104 nowych chorych w ciągu roku.

## Podsumowanie

Uwzględniając całkowitą liczebność populacji chorych we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach oszacowano, że liczebność populacji, w której wnioskowana technologia może być stosowana w Polsce, wynosi od [redacted] chorych, a roczna zapadalność mieści się w zakresie od **276 do 317** chorych.

### 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wskazanie wnioskowane obejmuje węższą populację niż zarejestrowane, określone w *ChPL Ayvakyt®*. Populacja wskazana we wniosku refundacyjnym oraz oceniana w niniejszej analizie (populacja docelowa) jest doprecyzowana względem wskazania z Charakterystyki Produktu Leczniczego zawężającymi zapisami wnioskowanego *Programu lekowego*, a więc obejmuje wyłącznie chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

## Oszacowanie w oparciu o Badanie ankietowe

O oszacowanie polskiej populacji dorosłych chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym poproszono eksperta w przeprowadzonym *Badaniu ankietowym*. Z odpowiedzi eksperta wynika, że aktualnie w Polsce zdiagnozowanych jest ok. [REDACTED]

## Oszacowanie w oparciu o dane epidemiologiczne

Parametry chorobowości (na 100 000 mieszkańców) oraz zapadalności (na 100 000 osobolat) na indolentną mastocytozę układową przedstawiono w literaturze. Dane epidemiologiczne, dotyczące populacji europejskiej lub światowej, oraz inne opublikowane dane zestawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 2.**  
**Podsumowanie parametrów epidemiologicznych ISM**

| Parametr                                                         | Wartość parametru | Populacja            | Źródło                   |
|------------------------------------------------------------------|-------------------|----------------------|--------------------------|
| Chorobowość ISM na 100 000 mieszkańców                           |                   |                      |                          |
| Średnia                                                          | 18,00             | Duńska (N = 1 275)   | <i>Kibsgaard 2020</i>    |
| Średnia                                                          | ≥13,00            | Holenderska (N = 42) | <i>van Doormaal 2012</i> |
| Średnia (ISM to 65% SM;<br>SM występuje u 3,75 na 100 000 osób)  | 2,44              | n/d                  | <i>Hus 2021</i>          |
| Minimalna (ISM to 60% SM;<br>SM występuje u 2,5 na 100 000 osób) | 1,50              |                      |                          |
| Maksymalna (ISM to 70% SM;<br>SM występuje u 5 na 100 000 osób)  | 3,50              |                      |                          |
| Średnia (ISM to 50% M;<br>M występuje u 11,5 na 100 000 osób)    | 5,75              | n/d                  | <i>Romantowski 2023</i>  |
| Minimalna (ISM to 50% M;<br>M występuje u 10 na 100 000 osób)    | 5,00              |                      |                          |
| Maksymalna (ISM to 50% M;<br>M występuje u 13 na 100 000 osób)   | 6,50              |                      |                          |
| Średnia (ISM to 90% SM;<br>SM występuje u 1 na 8 849 osób)       | 10,17             | Europejska           | <i>Orphanet 2025</i>     |

| Parametr                                                                                                      | Wartość parametru | Populacja          | Źródło                      |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------|--------------------|-----------------------------|
| Minimalna (ISM to 90% SM; SM występuje u 1 na 10 400 osób)                                                    | 8,65              |                    |                             |
| Maksymalna (ISM to 90% SM; SM występuje u 1 na 7 700 osób)                                                    | 11,69             |                    |                             |
| Zapadalność na ISM na 100 000 osobolat                                                                        |                   |                    |                             |
| Średnia                                                                                                       | 0,40              | Duńska (N = 1 275) | Kibsgaard 2020              |
| Dolna granica 95% przedziału ufności                                                                          | 0,30              |                    |                             |
| Górna granica 95% przedziału ufności                                                                          | 0,50              |                    |                             |
| Średnia (ISM to 50% M; zapadalność na M to 7,5 na 1 000 000 osobolat, w tym 2/3 to dzieci w wieku do 2 lat)   | 0,125             | n/d                | Amon 2010, Romantowski 2023 |
| Minimalna (ISM to 50% M; zapadalność na M to 5 na 1 000 000 osobolat, w tym 2/3 to dzieci w wieku do 2 lat)   | 0,083             |                    |                             |
| Maksymalna (ISM to 50% M; zapadalność na M to 10 na 1 000 000 osobolat, w tym 2/3 to dzieci w wieku do 2 lat) | 0,167             |                    |                             |
| ISM to 65% SM; zapadalność na SM to 7,5 na 1 000 000 osobolat                                                 | 0,4875            | Europejska         | AWA Ayvakyt                 |

Chorobowość ISM wg eksperta zapytanego w *Badaniu ankietowym*

Natomiast na podstawie powyższej tabeli przyjęto, że najbardziej prawdopodobna zapadalność na ISM wynosi 0,338 przypadków na 100 000 osobolat, a więc średnia z trzech odnalezionych źródeł danych, tj. AWA Ayvakyt; Amon 2010 i Romantowski 2023; Kibsgaard 2020. Przyjęto arbitralnie, że minimalna oraz maksymalna zapadalność na ISM (0,304 oraz 0,371 przypadków na 100 000 osobolat) to 90% oraz 110% zapadalności najbardziej prawdopodobnej.

Następnie, na podstawie *danych od Wnioskodawcy* założono, że [REDACTED] chorych na ISM stanowią chorzy z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, jak również na podstawie *danych od Wnioskodawcy* przyjęto, że [REDACTED] jest niedostatecznie kontrolowana.

Biorąc pod uwagę liczebność dorosłej populacji Polski prognozowanej przez GUS na 2025 rok, tj. 30 681 179 [GUS 2025], liczba dorosłych chorych na ISM z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym wynosi w Polsce, według przyjętych danych epidemiologicznych od [redacted] w wariancie minimalnym do [redacted] w wariancie maksymalnym [Hus 2021, Romantowski 2023], natomiast liczba nowych przypadków ISM z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym w populacji dorosłych Polaków wynosi, według przyjętych danych epidemiologicznych [redacted] w wariancie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym).

### Oszacowanie wykorzystane w niniejszej analizie

Ze względu na brak badań epidemiologicznych przeprowadzonych w Polsce, prawdopodobną liczebność populacji docelowej określono, w wariancie podstawowym, na podstawie wyników *Badania ankietowego*. W wariancie minimalnym oraz maksymalnym wykorzystano oszacowanie w oparciu o dane epidemiologiczne (*Hus 2021; Kibsgaard 2020; AWA Ayvakyt; Amon 2010; Romantowski 2023*) oraz dane GUS dotyczące liczebności dorosłej populacji Polski (*GUS 2025*). W wariancie prawdopodobnym wykorzystano wskazania eksperta, [redacted]

Ze względu na brak danych dotyczących zachorowalności na ISM w Polsce w ramach *Badania ankietowego*, dane te oszacowano w oparciu o dane epidemiologiczne.

Liczebność populacji docelowej, wykorzystaną w analizie podstawowej, przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 3.**  
**Populacja docelowa, wskazana we wniosku**

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

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

Obecnie awaprytynib jest w Polsce refundowany w *Programie lekowym B.115*. Na podstawie danych ze Sprawozdań NFZ za I połowę 2024 r. liczba chorych leczonych we wskazaniu zaawansowanej mastocytozy układowej (AdvSM) awaprytynibem w *Programie lekowym B.115* wyniosła 38 [Dane NFZ] i jest to oszacowanie wielkości populacji, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana. We wnioskowanym wskazaniu lek Ayvakyt® nie jest refundowany.

### **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 objęciu refundacją, oszacowano na podstawie prognozowanych udziałów, jakie lek Ayvakyt® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

#### **2.5.4.1. Udziały w rynku**

Udziały w rynku technologii wnioskowanej i BSC we wnioskowanym wskazaniu określono na podstawie wyników *Badania ankietowego*.

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

Podsumowanie udziałów rynkowych w uwzględnionej populacji docelowej przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 4.**  
**Udziały w rynku w uwzględnionej populacji docelowej**

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

W analizie wrażliwości testowano minimalne udziały awaprytynibu w 1. roku, oszacowane jako wartości z analizy podstawowej

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

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

#### **2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną**

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

**Tabela 5.**  
**Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana we wnioskowanym wskazaniu**

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

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

W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji awaprytynibu, lek ten nie będzie stosowany we wnioskowanym wskazaniu.

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

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

**Tabela 6.**  
**Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań**

| Populacja                                                                                                                                                | Oszacowanie rocznej liczebności populacji | Podstawa prawna            |
|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------|----------------------------|
| Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana                                                       |                                           | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. a |
| Populacja docelowa, wskazana we wniosku                                                                                                                  |                                           | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. b |
| Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana                                                                                       | 38, w tym<br>0 we wnioskowanym wskazaniu  | art. 6 ust. 1 pkt 1 lit. c |
| Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją     |                                           | art. 6 ust. 1 pkt 2        |
| Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją | 38, w tym<br>0 we wnioskowanym wskazaniu  | art. 6 ust. 1 pkt 4        |

## 2.6. Analiza kosztów

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

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

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

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- ⊕ koszty zużycia zasobów opieki zdrowotnej (w tym koszt leczenia objawów mastocytozy, koszt opieki nad chorym i koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia);
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty przejścia w stan SSM i AdvSM.

Wymienione kategorie kosztowe stanowią całkowite koszty różniące oceniane technologie medyczne.

Należy zauważyć, że koszt podania leku są kosztami nieróżniącymi, zatem nie zostały uwzględnione do oszacowania wydatków inkrementalnych analizy.

**Tabela 7.**  
**Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne**

| Kategoria kosztowa | Uzasadnienie kwalifikacji                    |
|--------------------|----------------------------------------------|
| Koszt podania leku | Brak leków podawanych drogą inną niż doustna |

Ponieważ poszczególne kategorie kosztowe zostały scharakteryzowane i skalkulowane w ramach *Analizy ekonomicznej* w niniejszej analizie zaprezentowano jedynie koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz modelowanie i podsumowanie kosztów.

### **2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz technologii opcjonalnych**

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

### 2.6.1.1. Dawkowanie

#### AWAPRYTYNIB

Zgodnie z dawkowaniem określonym w *ChPL Ayvakyt®*, zalecana dawka AVA w leczeniu indolentnej mastocytozy układowej z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym wynosi 25 mg. Dawka ta była również stosowana u chorych w badaniach odnalezionych w ramach przeglądu systematycznego *Analizy klinicznej*.

#### BSC

Po wykonaniu odpowiedniego przeglądu literatury oraz rozmowy z ekspertem [Badanie ankietowe] nie znaleziono leków z zarejestrowanym wskazaniem ISM. Na podstawie *Badania ankietowego* założono dawkowanie dla wskazań związanymi z występującymi objawami choroby uwzględnionych w Charakterystykach Produktów Leczniczych wybranych leków w ramach danej substancji.

**Tabela 8.**  
**Schematy dawkowania w terapiach zawartych w BSC**

| Terapie                          |                | Dawkowanie w ISM                  | Źródło                              |
|----------------------------------|----------------|-----------------------------------|-------------------------------------|
| Blokery receptora H <sub>1</sub> | Cetyryzyna     | 10 mg raz dziennie                | <i>ChPL Zyrtec®</i>                 |
|                                  | Feksofenadyna  | 120 mg do 180 mg dziennie         | <i>ChPL Allegra®</i>                |
|                                  | Rupatadyna     | 10 mg raz dziennie                | <i>ChPL Rupafin®/ChPL Rupaller®</i> |
|                                  | Loratadyna     | 10 mg raz dziennie                | <i>ChPL Loratadyna Galena®</i>      |
|                                  | Desloratadyna  | 5 mg raz dziennie                 | <i>ChPL Desloratadine Mylan®</i>    |
|                                  | Difenhydramina | 50 mg raz dziennie                | <i>ChPL Nodisen®</i>                |
|                                  | Hydroksyzyna   | 25 mg do 100 mg dziennie          | <i>ChPL Hydroxyzinum VP®</i>        |
| Blokery receptora H <sub>2</sub> | Bilastyna      | 20 mg dziennie                    | <i>ChPL Clatra®</i>                 |
|                                  | Famotydyna     | 20 mg lub 40 mg dwa razy dziennie | <i>ChPL Famogast®</i>               |
|                                  | Lansoprazol    | 30 mg raz dziennie                | <i>ChPL Lansoprazole Genoptim®</i>  |
|                                  | Omeprazol      | 20 mg do 40 mg raz dziennie       | <i>ChPL Prazol®</i>                 |
|                                  | Pantoprazol    | 40 mg raz dziennie                | <i>ChPL Pantoprazole Mylan®</i>     |

| Terapie                     |             | Dawkowanie w ISM            | Źródło           |
|-----------------------------|-------------|-----------------------------|------------------|
| Inhibitory pompy protonowej | Rabeprazol  | 10 mg do 20 mg raz dziennie | ChPL Zulbex®     |
| Kortykosteroidy             | Betametazon | 0,015 mg /dzień             | ChPL Celestone®  |
|                             | Prednizolon | Od 40 do 80 mg na dobę      | ChPL Encortolon® |

### 2.6.1.2. Ceny poszczególnych prezentacji

#### AWAPRYTYNIB

Obecnie lek Ayvakyt® nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. 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, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w *Analizie wpływu na system ochrony zdrowia*.

Cenę zbytu netto leku Ayvakyt® oparto na *Wykazie leków refundowanych* dla tego samego leku finansowanego w innym wskazaniu i wynosi ona [REDAKTOWANE]. Zgodnie z zapisami *Ustawy o refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu, cenę hurtową brutto oraz wysokość limitu finansowania.

**Tabela 9.**  
**Ceny leku Ayvakyt® uwzględnione w analizie (PLN)**

|               |
|---------------|
| [REDAKTOWANE] |
|---------------|

W obliczeniach analizy uwzględniono ponadto założenia umowy podziału ryzyka (RSS), w ramach której [REDAKTOWANE]

|               |
|---------------|
| [REDAKTOWANE] |
|---------------|

#### BSC

Leki, które są używane w ramach BSC są obecnie finansowany w aptece na receptę i wydawane są świadczeniobiorcy w różnych odpłatnościach - za odpłatnością w wysokości 30%, 50% lub 100% jego limitu finansowania. Należy zwrócić uwagę na brak dostępności leków w analizowanym wskazaniu. Leczenie polega na leczeniu objawów choroby [Analiza

kliniczna]. Ceny leków refundowanych przyjęto zgodnie z *Wykazem leków refundowanych*, natomiast w przypadku pozostałych leków wykorzystano strony internetowe aptek [Bazy aptek internetowych]. Ceny te przedstawiono w załączniku do *Analizy ekonomicznej*.

### 2.6.1. Zestawienie kosztów leków

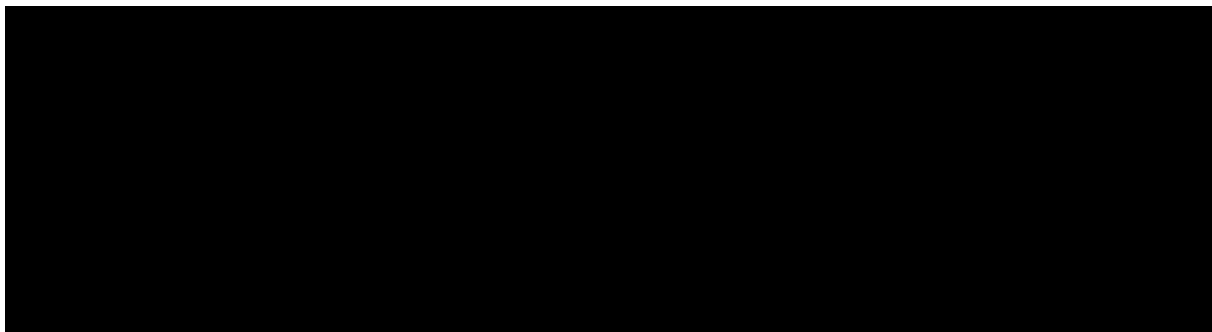
W oparciu o dawkowanie, ceny leków oraz proponowane warunki RSS wyznaczono koszt jednostkowy leków w przeliczeniu na opakowanie, średni koszt na cykl oraz roczny koszt leczenia. Wartości wskazano w poniższych tabelach.

**Tabela 10.**  
**Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie (PLN)**

| Substancja     | Koszt opakowania                 |                     |
|----------------|----------------------------------|---------------------|
|                | Perspektywa płatnika publicznego | Perspektywa wspólna |
| AVA bez RSS    |                                  |                     |
| AVA z RSS      |                                  |                     |
| Desloratadyna  | 99,91                            | 146,51              |
| Cetyryzyna     | 44,65                            | 61,18               |
| Loratadyna     | 60,66                            | 87,99               |
| Rupatadyna     | 26,61                            | 36,45               |
| Feksofenadyna  | 0,00                             | 11,62               |
| Difenhydramina | 0,00                             | 58,47               |
| Bilastyna      | 0,48                             | 59,63               |
| Hydroksyzyna   | 0,00                             | 26,57               |
| Lansoprazol    | 28,13                            | 52,72               |
| Famotydyna     | 16,88                            | 21,39               |
| Omeprazol      | 39,59                            | 70,83               |
| Pantoprazol    | 21,11                            | 37,61               |
| Rabeprazol     | 0,00                             | 45,75               |
| Betametazon    | 0,00                             | 295,38              |
| Prednizolon    | 12,64                            | 19,97               |
| Epinefryna     | 490,50                           | 980,95              |

**Tabela 11.**

**Koszty terapii AVA i BSC na cykl oraz w przeliczeniu na rok (PLN)**



### **2.6.2. Pozostałe kategorie kosztowe**

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

### **2.6.3. Modelowanie kosztów**

Koszty uwzględnione w niniejszym opracowaniu stanowią wynik przeprowadzonego w *Analizie ekonomicznej* modelowania z uwzględnieniem 2-letniego horyzontu czasowego.

#### **Włączanie chorych do leczenia**

W przypadku chorych nowo zdiagnozowanych w danym roku przyjęto, że kwalifikacja do leczenia poszczególnymi terapiami



<sup>2</sup> Przyjęto okresy 4-tygodniowe zgodne z długością cyklu w modelu analizy ekonomicznej

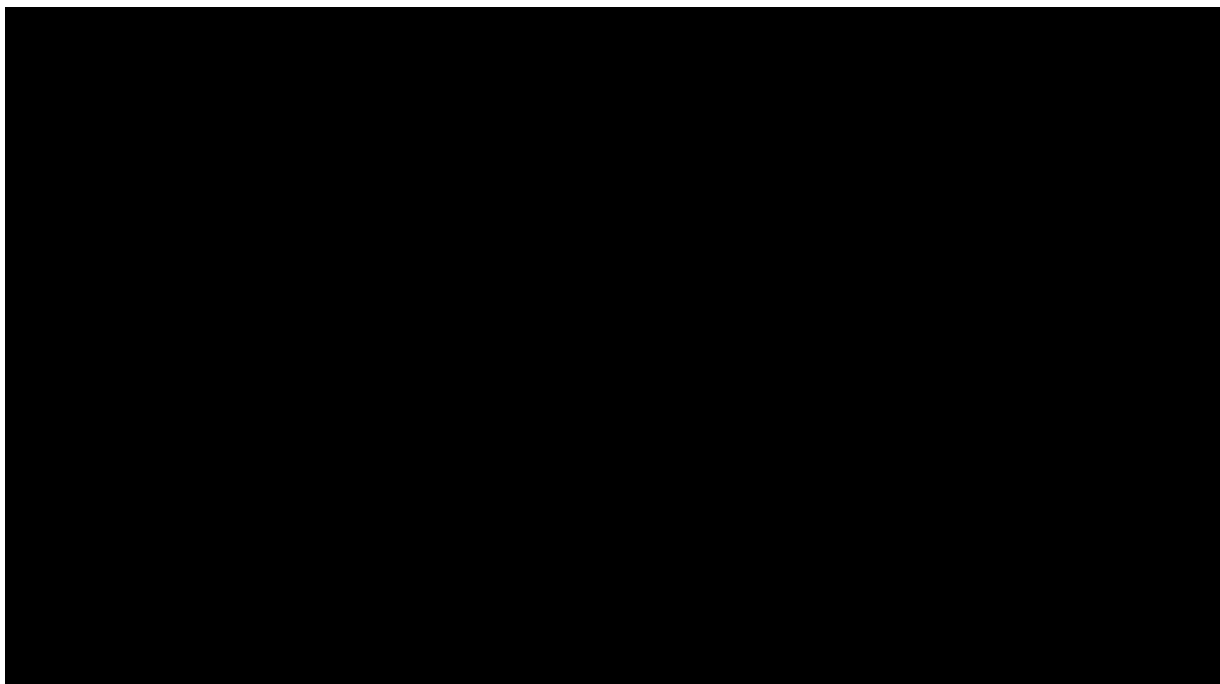
Choremu, który rozpocznie terapię w styczniu, pierwszego roku analizy przypisany zostanie koszt odpowiadający 2 latom leczenia w modelu ekonomicznym (niezdyskontowany), przy czym w pierwszym roku analizy BIA przypisany zostanie koszt pierwszych 13,04 cykli terapii (tj. kosztów pełnych 13 cykli terapii oraz 0,04 kosztu 14. cyklu terapii), a w drugim roku koszt od 13,04 do 26,09 cyklu terapii w modelu (tj. 0,96 kosztu 14. cyklu terapii, kosztów pełnych 15-26 cykli terapii oraz 0,09 kosztu 27. cyklu terapii). Z kolei choremu, który rozpocznie leczenie np. po 20 tygodniach (po 5 cyklach) od rozpoczęcia horyzontu czasowego, w pierwszym roku analizy BIA zostanie przyporządkowany koszt pierwszych 8,04 cykli terapii w modelu, w drugim roku BIA koszt od 8,04 do 21,09 cyklu terapii w modelu itd.

### Modelowanie kosztów jednego chorego

W tabelach poniżej na przykładzie terapii awaprytynibem, w wariancie z RSS w perspektywie płatnika publicznego, przedstawiono sposób naliczania kosztów, który następnie krótko omówiono. Poniższa tabela przedstawia koszty rocznej terapii chorego w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia.

#### Tabela 12.

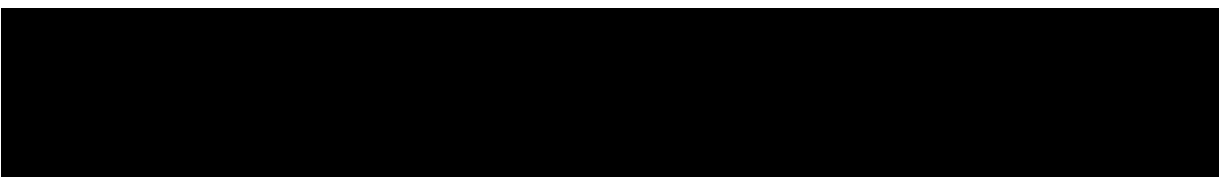
**Koszty ponoszone w terapii awaprytynibem (AVA) w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w czasie roku z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego**



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 zapadalność (i rozpoczęcie terapii przez chorych) w ciągu roku. Kolejne kolumny reprezentują koszt jaki ponosi chory w kolejnych latach horyzontu czasowego analizy. W przypadku, gdy chory przystąpi do leczenia w drugim roku horyzontu czasowego analizy BIA na jego całkowity koszt leczenia składają się jedynie koszty 1. roku terapii. Średni roczny koszt leczenia chorego został obliczony jako średnia ważona odsetka zaprezentowanego w 2 kolumnie powyższej tabeli i kosztu zaprezentowanego w kolumnie dla odpowiedniego roku leczenia. Średnie koszty roczne (1. i 2. roku terapii) ponoszone w zależności od roku rozpoczęcia leczenia przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tabela 13.**

**Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego**



Analogiczne obliczenia (w przeliczeniu na jednego chorego) wykonano w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej w przypadku:

- ⊕ terapii AVA z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka,
- ⊕ terapii AVA bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka,
- ⊕ terapii BSC oraz

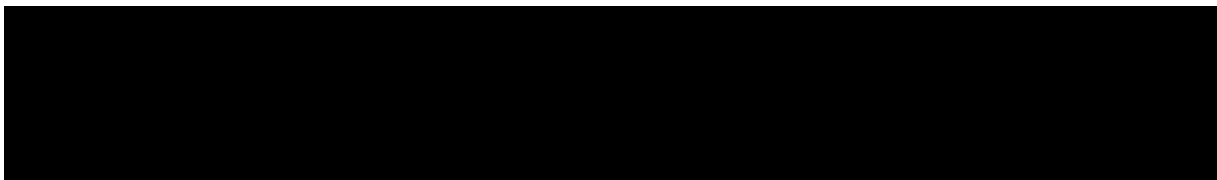
kosztów technologii wnioskowanej w przypadku:

- ⊕ terapii AVA z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka oraz
- ⊕ terapii AVA bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka

i podsumowano w poniższych tabelach.

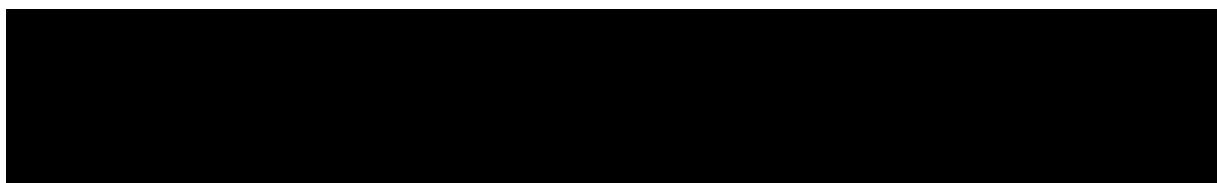
**Tabela 14.**

**Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego**



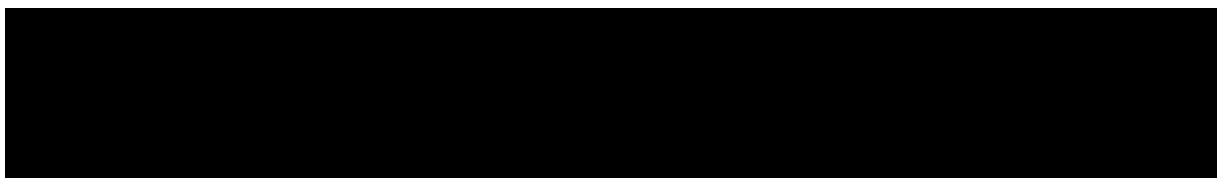
**Tabela 15.**

**Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego**



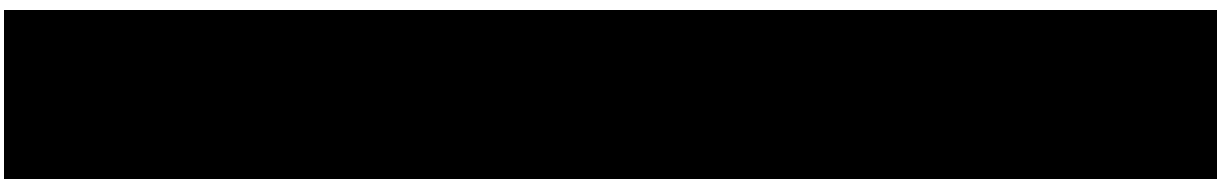
**Tabela 16.**

**Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego**



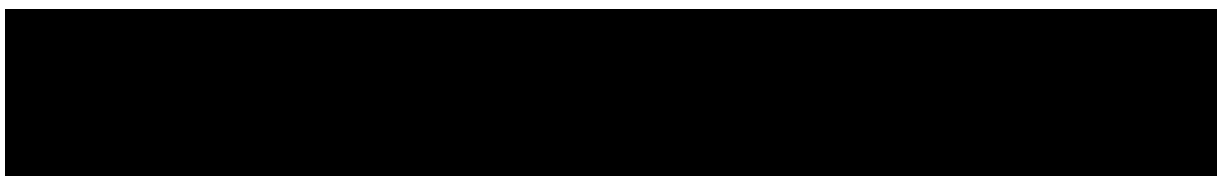
**Tabela 17.**

**Koszty ponoszone w terapii BSC w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego**



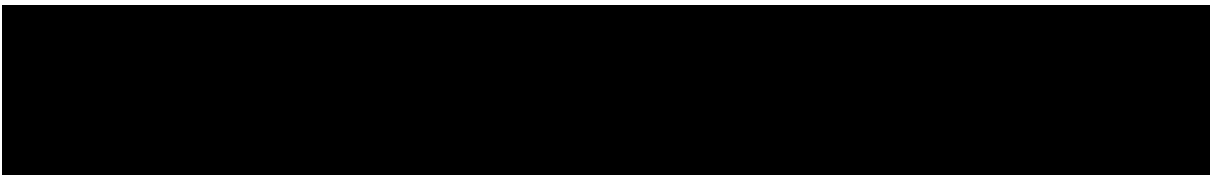
**Tabela 18.**

**Koszty ponoszone w terapii BSC w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego**



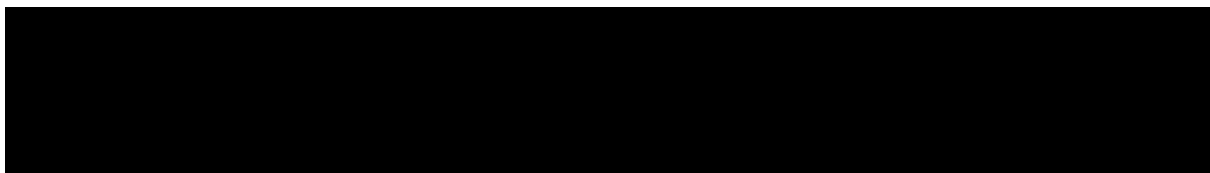
**Tabela 19.**

**Koszty ponoszone na lek Ayvakyt® w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego**



**Tabela 20.**

**Koszty ponoszone na lek Ayvakyt® w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego**



### **Podsumowanie modelowania kosztów**

Na podstawie liczebności populacji docelowej (rozdział 2.5.2.), prognozowanych udziałów poszczególnych terapii w scenariuszu nowym (rozdział 2.5.4.1.) i istniejącym (rozdział 2.5.5.), krzywej wejścia chorych rozpoczynających leczenie awaprytynibem w scenariuszu nowym (rozdział 2.6.3. - *Włączanie chorych do leczenia*) oraz średnich kosztów leczenia w 1. i 2. roku leczenia (rozdział 2.6.3. - *Modelowanie kosztów jednego chorego*) oszacowano prognozowane wydatki budżetowe, które przedstawiono w rozdziale 2.8.2.

## **2.7. Podsumowanie danych wejściowych**

Podsumowanie danych wejściowych przedstawiono w poniższej tabeli.

**Tabela 21.**  
**Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet**

| Parametr                                    | Wartość parametru z analizy podstawowej                                 | Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter, minimalna – min, maksymalna – max) |     | Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności | Źródła danych dla wartości parametru                                                                        |
|---------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----|--------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Parametry analizy wpływu na budżet          |                                                                         |                                                                                                        |     |                                            |                                                                                                             |
| Horyzont czasowy analizy                    | 2-letni                                                                 | n/d                                                                                                    | n/d | n/d                                        | Wytyczne AOTMiT                                                                                             |
| Liczba dni w roku                           | 365,25                                                                  | n/d                                                                                                    | n/d | n/d                                        | Założenie                                                                                                   |
| Oszacowanie liczebności populacji docelowej | Na podstawie wyników badania ankietowego oraz danych epidemiologicznych | n/d                                                                                                    | n/d | n/d                                        | Badanie ankietowe, Kibsgaard 2020, Amon 2010, Hus 2021, Romantowski 2023, AWA Ayvakyt, Dane od Wnioskodawcy |
|                                             |                                                                         |                                                                                                        |     |                                            |                                                                                                             |

| 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 kosztowe | Analiza ekonomiczna                     | n/d                                                                                                    | n/d | n/d                                        | Analiza ekonomiczna                  |

---

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

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

### 2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano, biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2026 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. Oszacowane w ten sposób aktualne wydatki budżetowe wynoszą około [REDACTED] w skali roku.

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

### 2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

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

---

\_\_\_\_\_

| Wariant                         | Scenariusz istniejący |                | Scenariusz nowy |                | Wydatki inkrementalne |                |
|---------------------------------|-----------------------|----------------|-----------------|----------------|-----------------------|----------------|
|                                 | 1. rok analizy        | 2. rok analizy | 1. rok analizy  | 2. rok analizy | 1. rok analizy        | 2. rok analizy |
| Całkowite koszty różniące (PLN) |                       |                |                 |                |                       |                |
| minimalny                       |                       |                |                 |                | 38 220 062            | 55 313 961     |
| prawdopodobny                   |                       |                |                 |                | 63 000 102            | 86 028 772     |
| maksymalny                      |                       |                |                 |                | 89 880 145            | 119 695 166    |
| Koszt awaprytynibu (PLN)        |                       |                |                 |                |                       |                |
| minimalny                       |                       |                |                 |                |                       |                |
| prawdopodobny                   |                       |                |                 |                |                       |                |
| maksymalny                      |                       |                |                 |                |                       |                |

\_\_\_\_\_

| Wariant                         | Scenariusz istniejący |                | Scenariusz nowy |                | Wydatki inkrementalne |                |
|---------------------------------|-----------------------|----------------|-----------------|----------------|-----------------------|----------------|
|                                 | 1. rok analizy        | 2. rok analizy | 1. rok analizy  | 2. rok analizy | 1. rok analizy        | 2. rok analizy |
| Całkowite koszty różniące (PLN) |                       |                |                 |                |                       |                |
| minimalny                       |                       |                |                 |                | 38 151 800            | 55 242 786     |
| prawdopodobny                   |                       |                |                 |                | 62 887 582            | 85 920 637     |
| maksymalny                      |                       |                |                 |                | 89 719 617            | 119 546 316    |
| Koszt awaprytynibu (PLN)        |                       |                |                 |                |                       |                |
| minimalny                       |                       |                |                 |                |                       |                |
| prawdopodobny                   |                       |                |                 |                |                       |                |
| maksymalny                      |                       |                |                 |                |                       |                |

---

### 3. 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.

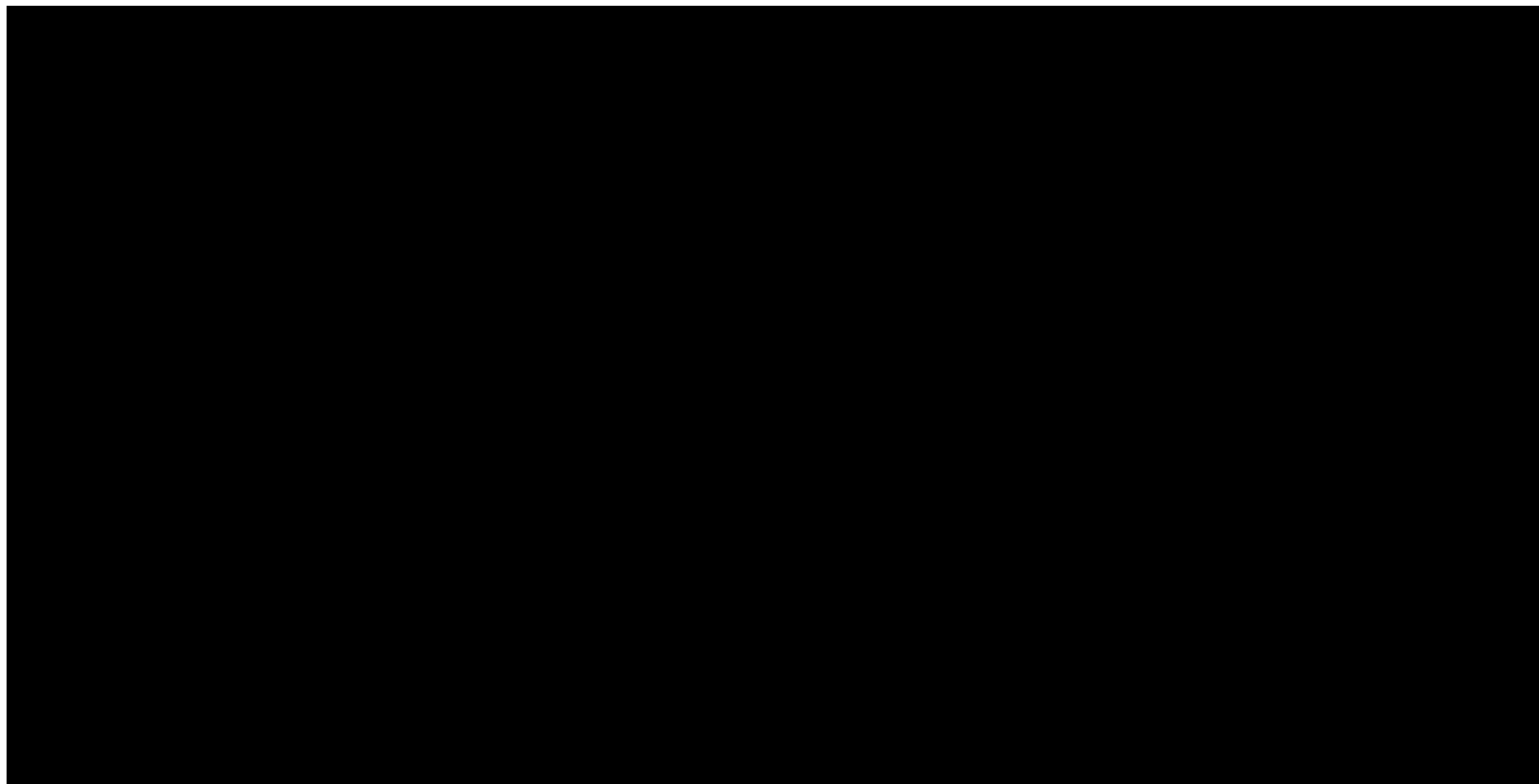
Parametry użyte w analizie wrażliwości oraz warianty testowane w analizie scenariuszy, wraz z zakresem zmienności, źródłem danych oraz uzasadnieniem zakresów zmienności, wskazano w rozdziale 2.7.

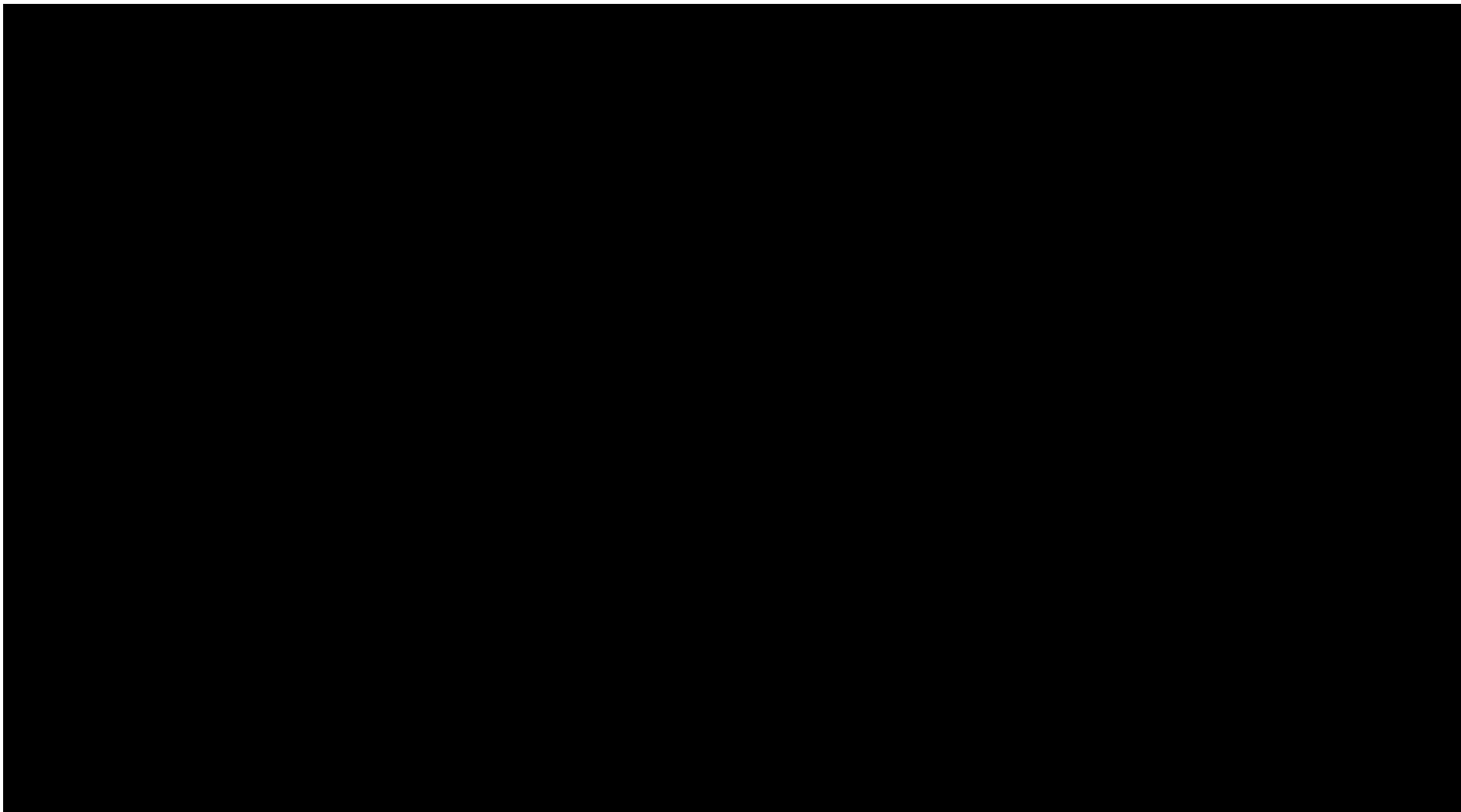
Wyniki analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy przedstawiono w poniższych tabelach.

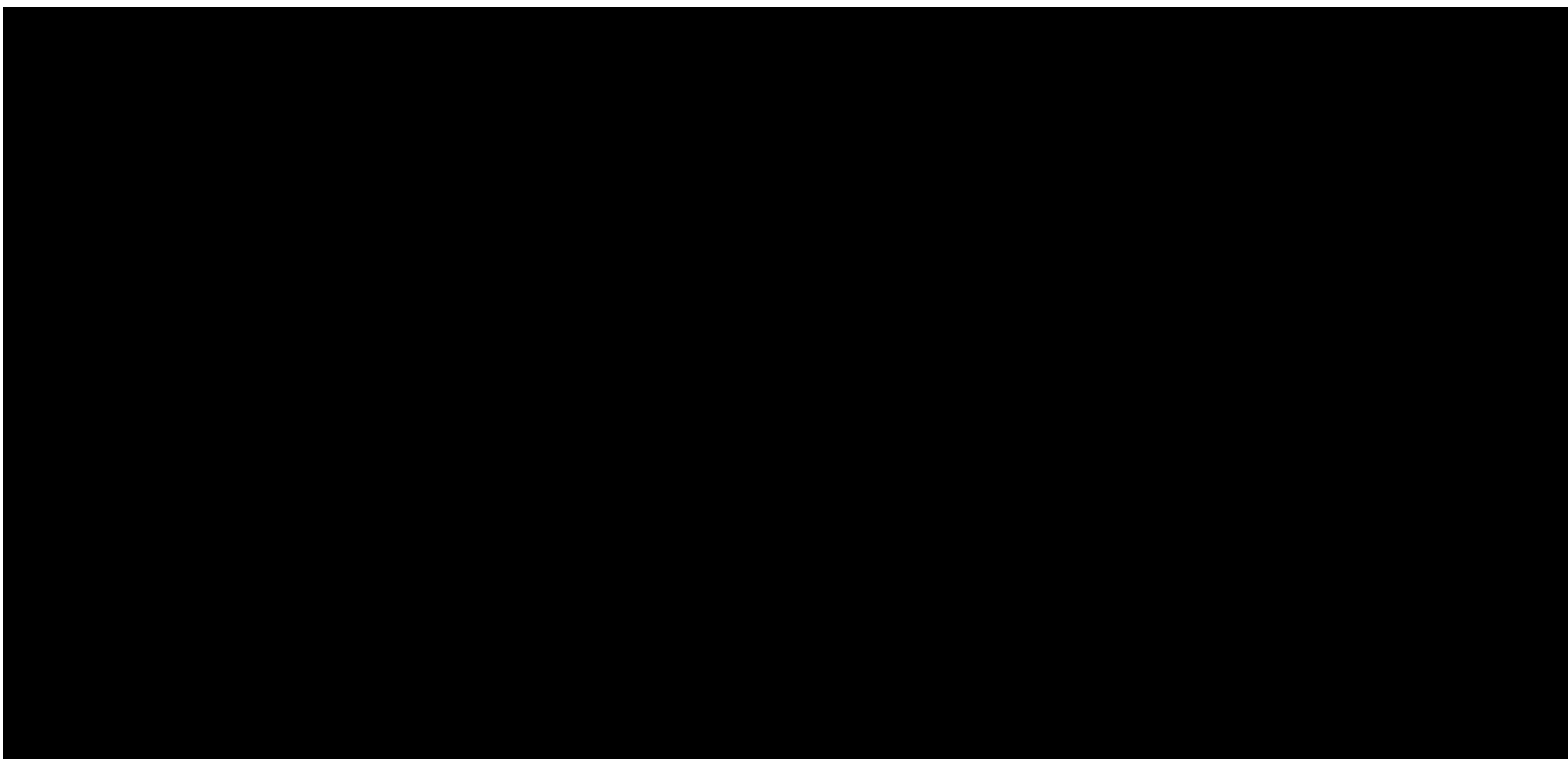
---

**Tabela 26.**

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







**Tabela 27.**

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

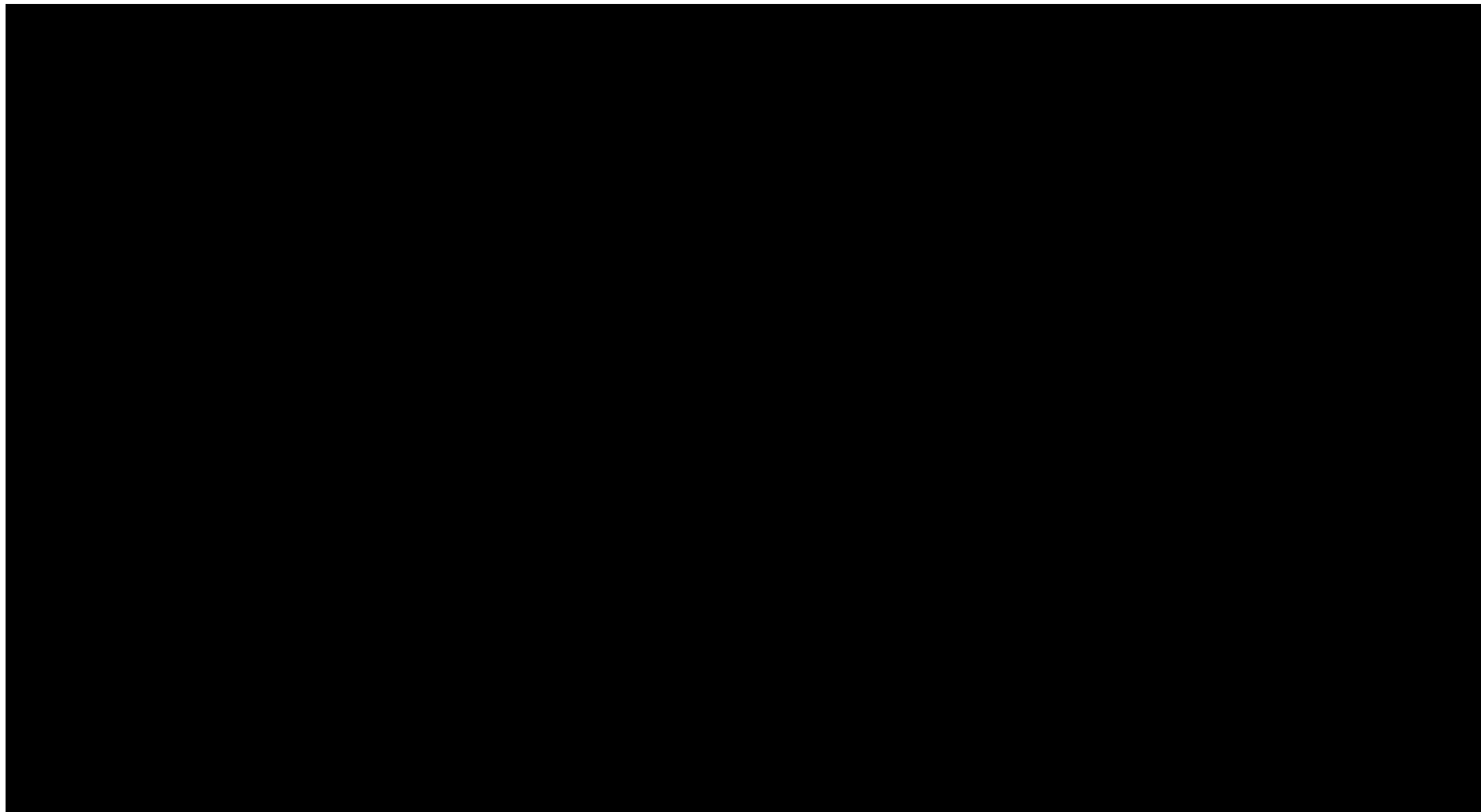
|  | Inkrementalne całkowite koszty różnice (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|--------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                           |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                           | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  | 38,22                                            | 55,31  | 63,00                      | 86,03  | 89,88                   | 119,70 |
|  | 34,02                                            | 50,25  | 56,70                      | 78,43  | 80,64                   | 108,56 |
|  | 50,82                                            | 67,57  | 84,00                      | 108,41 | 119,70                  | 151,87 |
|  | 61,45                                            | 57,26  | 101,29                     | 86,11  | 144,51                  | 117,96 |
|  | 37,88                                            | 55,23  | 62,44                      | 85,94  | 89,08                   | 119,59 |
|  | 39,01                                            | 55,51  | 64,30                      | 86,24  | 91,74                   | 119,93 |
|  | 38,98                                            | 55,50  | 64,25                      | 86,23  | 91,66                   | 119,92 |
|  | 38,99                                            | 55,50  | 64,27                      | 86,24  | 91,69                   | 119,93 |
|  | 38,81                                            | 56,18  | 63,97                      | 87,37  | 91,27                   | 121,57 |
|  | 38,29                                            | 55,42  | 63,12                      | 86,19  | 90,05                   | 119,91 |
|  | 38,14                                            | 55,20  | 62,87                      | 85,85  | 89,69                   | 119,45 |

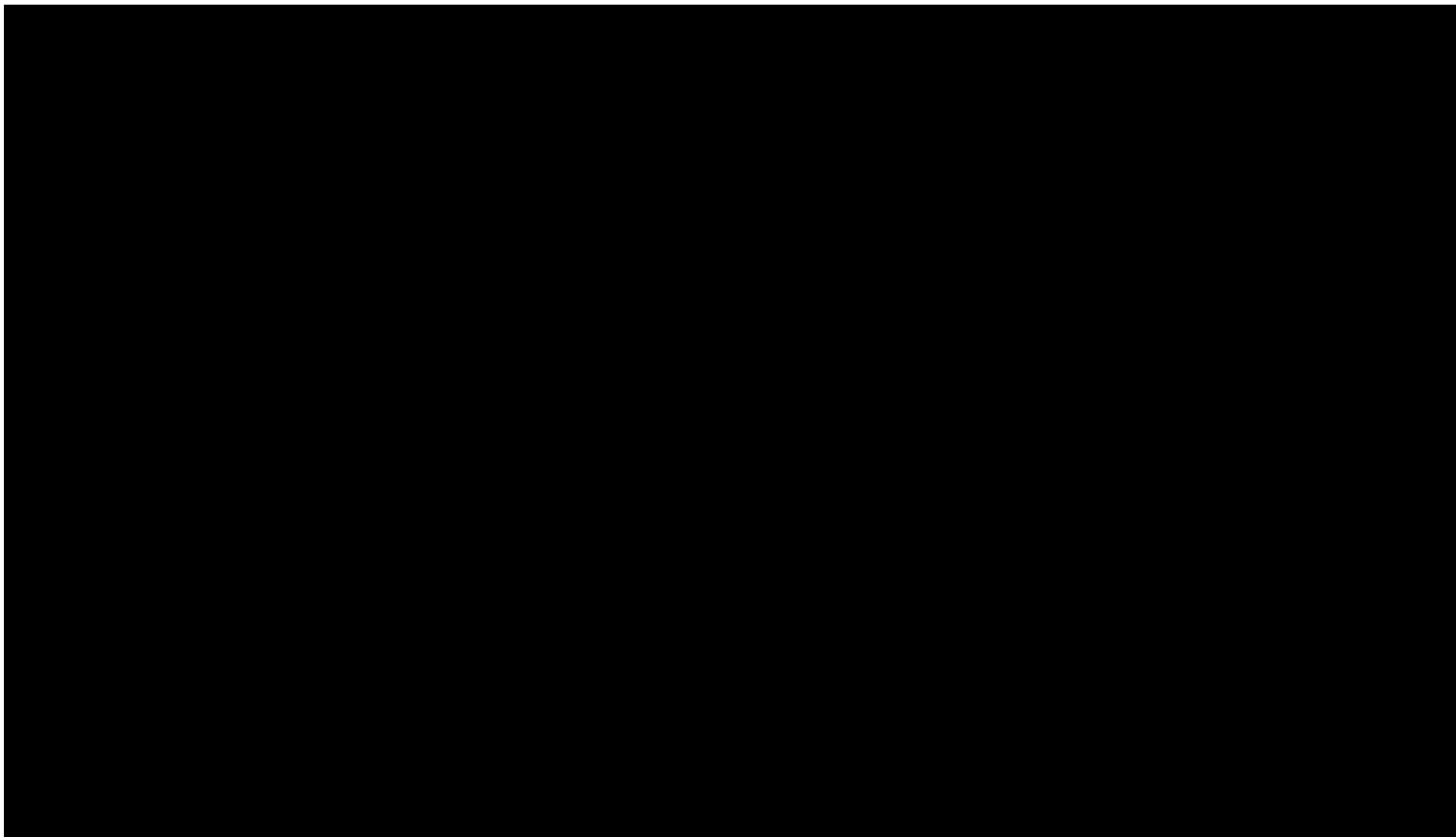
|  | Inkrementalne całkowite koszty różniące (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|---------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                            |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                            | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  |                                                   |        |                            |        |                         |        |
|  | 38,22                                             | 55,33  | 63,01                      | 86,05  | 89,89                   | 119,72 |
|  | 35,32                                             | 38,87  | 58,22                      | 59,31  | 83,06                   | 81,81  |
|  | 38,22                                             | 55,31  | 63,00                      | 86,02  | 89,88                   | 119,69 |
|  | 38,22                                             | 55,33  | 63,00                      | 86,05  | 89,88                   | 119,73 |
|  | 38,22                                             | 55,30  | 62,99                      | 86,01  | 89,87                   | 119,66 |
|  | 38,23                                             | 55,35  | 63,02                      | 86,09  | 89,90                   | 119,79 |
|  | 38,21                                             | 55,27  | 62,98                      | 85,96  | 89,85                   | 119,59 |
|  | 38,26                                             | 55,49  | 63,07                      | 86,31  | 89,98                   | 120,10 |
|  | 39,65                                             | 58,21  | 65,35                      | 90,61  | 93,23                   | 126,12 |
|  | 38,22                                             | 55,32  | 63,01                      | 86,04  | 89,89                   | 119,71 |

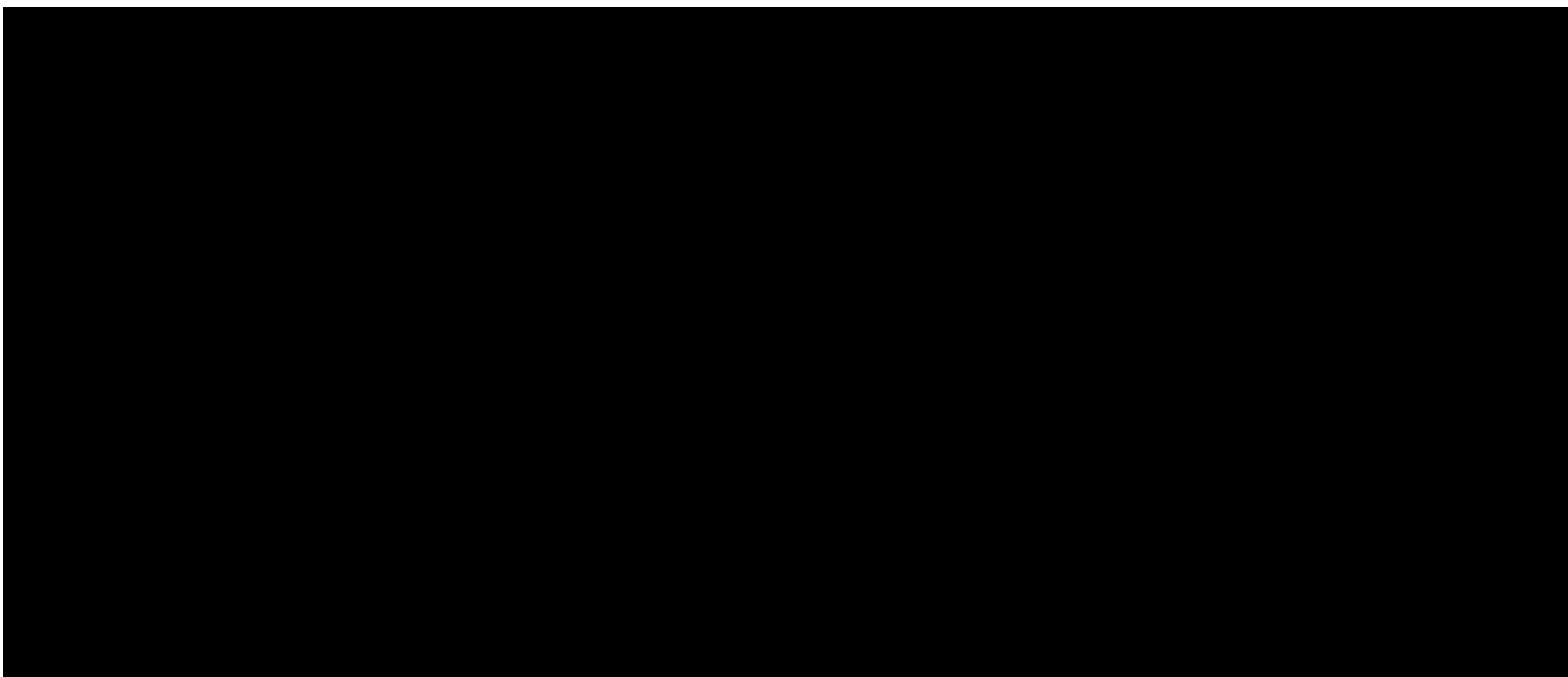
|  | Inkrementalne całkowite koszty różniące (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|---------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                            |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                            | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  | 38,26                                             | 55,47  | 63,07                      | 86,28  | 89,97                   | 120,05 |
|  | 38,22                                             | 55,31  | 63,00                      | 86,03  | 89,88                   | 119,70 |
|  | 38,22                                             | 55,32  | 63,00                      | 86,04  | 89,89                   | 119,72 |
|  | 38,22                                             | 55,31  | 63,00                      | 86,03  | 89,88                   | 119,70 |
|  | 38,22                                             | 55,31  | 63,00                      | 86,02  | 89,88                   | 119,68 |
|  | 38,34                                             | 55,34  | 63,19                      | 86,06  | 90,15                   | 119,73 |
|  | 38,26                                             | 55,32  | 63,06                      | 86,04  | 89,96                   | 119,71 |
|  | 38,77                                             | 56,18  | 63,91                      | 87,39  | 91,18                   | 121,59 |
|  | 38,10                                             | 54,83  | 62,80                      | 85,24  | 89,59                   | 118,58 |

**Tabela 28.**

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







**Tabela 29.**

**Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS**

|  | Inkrementalne całkowite koszty różniące (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|---------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                            |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                            | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  | 38,15                                             | 55,24  | 62,89                      | 85,92  | 89,72                   | 119,55 |
|  | 33,96                                             | 50,19  | 56,60                      | 78,33  | 80,50                   | 108,42 |
|  | 50,73                                             | 67,48  | 83,85                      | 108,28 | 119,49                  | 151,68 |
|  | 61,35                                             | 57,19  | 101,13                     | 86,00  | 144,28                  | 117,81 |
|  | 37,81                                             | 55,16  | 62,33                      | 85,83  | 88,92                   | 119,44 |
|  | 38,94                                             | 55,44  | 64,19                      | 86,13  | 91,58                   | 119,79 |
|  | 38,91                                             | 55,43  | 64,13                      | 86,12  | 91,50                   | 119,78 |
|  | 38,92                                             | 55,43  | 64,16                      | 86,13  | 91,53                   | 119,78 |
|  | 38,77                                             | 56,15  | 63,91                      | 87,33  | 91,18                   | 121,51 |
|  | 38,23                                             | 55,35  | 63,01                      | 86,09  | 89,90                   | 119,78 |
|  | 38,07                                             | 55,13  | 62,75                      | 85,74  | 89,52                   | 119,29 |

|  | Inkrementalne całkowite koszty różniące (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|---------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                            |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                            | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  |                                                   |        |                            |        |                         |        |
|  | 38,16                                             | 55,26  | 62,89                      | 85,94  | 89,73                   | 119,58 |
|  | 35,26                                             | 38,82  | 58,12                      | 59,24  | 82,91                   | 81,71  |
|  | 38,15                                             | 55,24  | 62,89                      | 85,91  | 89,72                   | 119,54 |
|  | 38,15                                             | 55,26  | 62,89                      | 85,94  | 89,72                   | 119,58 |
|  | 38,15                                             | 55,23  | 62,88                      | 85,90  | 89,71                   | 119,52 |
|  | 38,16                                             | 55,28  | 62,90                      | 85,98  | 89,74                   | 119,64 |
|  | 38,14                                             | 55,20  | 62,87                      | 85,85  | 89,69                   | 119,45 |
|  | 38,20                                             | 55,42  | 62,96                      | 86,21  | 89,82                   | 119,95 |
|  | 39,57                                             | 58,14  | 65,23                      | 90,50  | 93,06                   | 125,96 |
|  | 38,16                                             | 55,25  | 62,89                      | 85,93  | 89,73                   | 119,56 |

|  | Inkrementalne całkowite koszty różniące (mln PLN) |        |                            |        |                         |        |
|--|---------------------------------------------------|--------|----------------------------|--------|-------------------------|--------|
|  | w wariancie minimalnym                            |        | w wariancie prawdopodobnym |        | w wariancie maksymalnym |        |
|  | 1. rok                                            | 2. rok | 1. rok                     | 2. rok | 1. rok                  | 2. rok |
|  | 38,19                                             | 55,40  | 62,95                      | 86,17  | 89,81                   | 119,90 |
|  | 38,15                                             | 55,24  | 62,89                      | 85,92  | 89,72                   | 119,55 |
|  | 38,15                                             | 55,25  | 62,89                      | 85,94  | 89,73                   | 119,57 |
|  | 38,15                                             | 55,24  | 62,89                      | 85,92  | 89,72                   | 119,55 |
|  | 38,15                                             | 55,24  | 62,89                      | 85,91  | 89,72                   | 119,53 |
|  | 38,27                                             | 55,27  | 63,08                      | 85,95  | 89,99                   | 119,58 |
|  | 38,19                                             | 55,25  | 62,95                      | 85,93  | 89,80                   | 119,56 |
|  | 38,70                                             | 56,11  | 63,80                      | 87,28  | 91,02                   | 121,44 |
|  | 38,03                                             | 54,76  | 62,69                      | 85,13  | 89,43                   | 118,44 |

---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Ayvakyt® (awaprytynib) w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym, w ramach dostępności w programie lekowym, nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

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

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowana populacja chorych odznacza się szczególnie niekorzystnym rokowaniem. Brakuje zdefiniowanych standardów postępowania i istnieje duża niezaspokojona potrzeba społeczna na wprowadzenie skutecznej terapii. Dotychczas stosowane leczenie przy pomocy najlepszego leczenia wspomagającego nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Refundacja awaprytynibu wpłynie na zwiększenie jakości życia chorego, zmniejszenie wpływu zdarzeń niepożądanych, oraz zmniejszenie częstości wizyt monitorujących, czego dowodzą wyniki *Analizy ekonomicznej*.

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

Stosowane dotychczas leczenie z wykorzystaniem BSC (szczegóły przedstawione w *Analizie klinicznej*) nie zapewni wszystkim chorym na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym odpowiedniego leczenia. Rozszerzenie spektrum terapeutycznego o możliwość leczenia awaprytynibem może przynieść skuteczną oraz mniej inwazyjną opcję leczenia chorym już zdiagnozowanym oraz chorym nowo diagnozowanym. W przypadku chorych po

---

nieskutecznej terapii BSC lub z innymi przeciwwskazaniami do tej terapii, leczenie Ayvakyt® może stanowić jedyną opcję leczenia.

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

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

**Tabela 30.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

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

## 6. Ograniczenia

Liczebność populacji docelowej oraz udziały w rynku technologii wnioskowanej i BSC w poszczególnych scenariuszach analizy określono na podstawie wyników *Badania ankietowego*. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]. Prognozowane udziały rynkowe również bazują wyłącznie na opinii jednego polskiego eksperta. Liczebność populacji docelowej oraz przyjęte udziały rynkowe są zatem ograniczone i cechują się niepewnością.

[REDACTED]

W niniejszej analizie występują również ograniczenia związane ze strukturą modelu ekonomicznego, modelowaniem skuteczności, bezpieczeństwa oraz kosztów porównywanych terapii, które to modelowanie bazuje na modelu wykorzystanym w *Analizie ekonomicznej*. Zatem należy podkreślić, że większość ograniczeń wyodrębnionych w 12. rozdziale *Analizy ekonomicznej*, dotyczą również niniejszej analizy.

W analizie uwzględniono ponadto, że technologia wnioskowana finansowana będzie w ramach istniejącej grupy limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

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

---

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

---

---

## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o rozszerzenie wskazań, w których refundowany jest lek Ayvakyt® (awaprytynib), znajdujący się na *Wykazie leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności w programie lekowym, o chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją chorzy na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.

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

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

Liczebność populacji docelowej oszacowano podstawie *Badania ankietowego*.

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

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

W analizie uwzględniono jako koszty różniące rozpatrywane terapie:

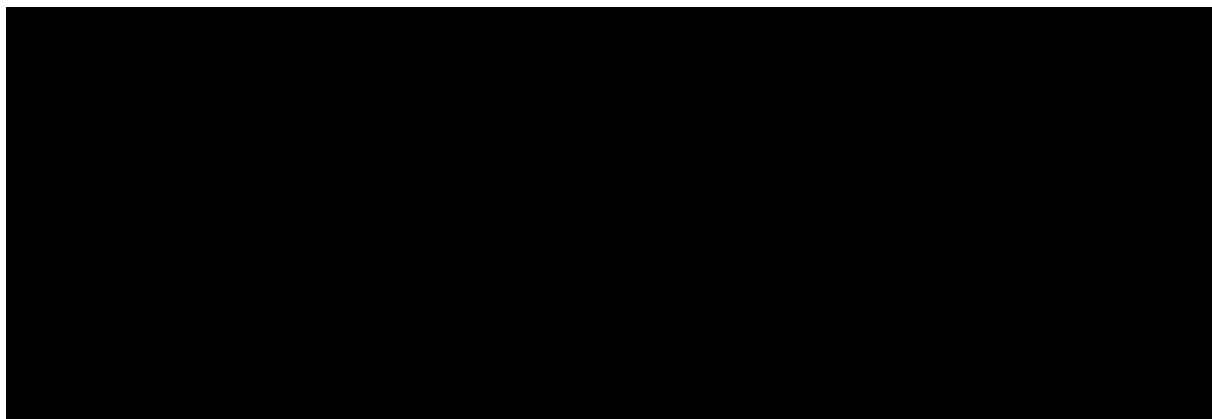
- ⊕ koszty leków;
  - ⊕ koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
-

- ⊕ koszty zużycia zasobów opieki zdrowotnej (w tym koszt leczenia objawów mastocytozy, koszt opieki nad chorym i koszt diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia);
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty przejścia w stan SSM i AdvSM,

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w istniejącej grupie limitowej. Cenę zbytu netto awaprytynibu oraz założenia dotyczące umowy podziału ryzyka 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



\*wielkość stanowiąca pełny potencjał rynkowy leku dla wnioskowanego wskazania refundacyjnego

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii będzie udostępnienie chorym nowej opcji terapeutycznej i zwiększenie ich szans na skuteczne leczenie chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli stosować leczenie jedynie przy pomocy leków wchodzących w zakres terapii BSC, teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Ayvakyt®. W konsekwencji finansowanie leku Ayvakyt® zapewni chorym na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym, dostęp do skuteczniejszego niż dotychczas leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.

---

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych technologii wnioskowanej spowoduje [REDACTED]

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]

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

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

Dodatkowo w analizie wskazano, że w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji leku Ayvakyt® należy oczekiwać korzyści zdrowotnej dla wąskiej grupy chorych, dlatego też finansowanie technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione. Ponadto decyzja refundacyjna nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń.

Biorąc pod uwagę rosnącą świadomość społeczną na temat problemu, jakim jest indolentna mastocytoza układowa, a także kluczową rolę działań prowadzących do szybszej diagnozy i wdrożenia skutecznej terapii, która może uchronić chorych przed znacznym pogorszeniem stanu zdrowia i jakości życia, uznano, że finansowanie wnioskowanej technologii jest etycznie i społecznie uzasadnione.

---

---

## 8. Załączniki

### 8.1. Uzasadnienie finansowania / utworzenia odrębnej grupy limitowej dla technologii wnioskowanej w ramach istniejącej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, iż lek Ayvakyt® spełnia kryteria kwalifikacji do już istniejącej, wspólnej grupy limitowej ze względu na obecność tej samej nazwy międzynarodowej, tych samych mechanizmów działania i podobnych działań terapeutycznych, zgodności wskazań i przeznaczeń lub tej samej skuteczności w porównaniu do już refundowanego w Polsce produktu leczniczego Ayvakyt® znajdującego się w grupie limitowej 1314.0, *Awaprytynib*. W związku z powyższym należy stwierdzić, że lek Ayvakyt® kwalifikuje się do już istniejącej grupy limitowej w ramach *Wykazu leków refundowanych*, a podstawę limitu refundacyjnego w tej grupie będzie wyznaczał, tak jak dotychczas, lek Ayvakyt®.

Zgodnie z *Wykazem leków refundowanych* lek Ayvakyt® jest aktualnie finansowany w ramach grupy limitowej 1314.0, *Awaprytynib*. Dostępne są cztery prezentacje leku, a lek Ayvakyt, tabl. powł., 25 mg, 08720165565214 jest podstawą limitu.

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy więc stwierdzić, iż lek Ayvakyt® 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. W odniesieniu do prezentacji już refundowanej w ramach wskazanej grupy limitowej 1314.0 niniejszy wniosek obejmuje rozszerzenie o dodatkowe wskazanie dla dostępnej prezentacji leku.

---

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

Tabela 31.

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

| Nr   | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | Tak/Nie/nie dotyczy  |
|------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------|
| 1.   | Oszacowanie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                                                                                                                                                                     | n/d                  |
| 1.1. | obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana                                                                                                                                                                                                                                      | TAK, rozdział 2.5.1. |
| 1.2. | docelowej, wskazanej we wniosku                                                                                                                                                                                                                                                                                               | TAK, rozdział 2.5.2. |
| 1.3. | w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana                                                                                                                                                                                                                                                                       | TAK, rozdział 2.5.3. |
| 1.4. | w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny                                                                                                                                                     | TAK, rozdział 2.5.4. |
| 2.   | Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku                                                                                                                                             | TAK, rozdział 2.8.   |
| 2.1. | Aktualnych                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | TAK, rozdział 2.8.1. |
| 2.2. | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje                                                                                                                                                                                                                  | TAK, rozdział 2.8.1. |
| 3.   | Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją lub decyzji o podwyższeniu ceny | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 3.1. | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii                                                                                                                                                                                                                                   | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 4.   | Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny    | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 4.1. | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,                                                                                                                                                                                                                                  | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 5.   | Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku                                                                                                                                 | TAK, rozdział 2.8.2. |
| 5.1. | z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii                                                                                                                                                                                                                                   | TAK, rozdział 2.8.2. |

| Nr    | Zadanie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | Tak/Nie/nie dotyczy                                                                      |
|-------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------|
| 6.    | Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | TAK, rozdział 2.8.2.                                                                     |
| 7.    | Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            | TAK, rozdział 2.7.                                                                       |
| 8.    | Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | TAK, rozdział 2.7.                                                                       |
| 8.1.  | wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                | TAK, rozdział 8.1.                                                                       |
| 9.    | Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | TAK                                                                                      |
| 10.   | Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                       | TAK                                                                                      |
| 11.   | Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | TAK                                                                                      |
| 11.1. | w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane<br>(w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                    | n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji |
| 12.   | 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> <li>⊗ bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>                                                                                                                                                                                  | TAK                                                                                      |
| 12.1. | Wskazano dowody niespełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ w art. 15 ust. 2 pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> </ul> Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ w art. 15 ust. 2. pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul> | NIE                                                                                      |

## 9. Spis tabel

|                                                                                                                                                                                                                                       |    |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 1. Liczba chorych stanowiąca populację u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....                                                                                                                         | 17 |
| Tabela 2. Podsumowanie parametrów epidemiologicznych ISM .....                                                                                                                                                                        | 19 |
| Tabela 3. Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....                                                                                                                                                                               | 22 |
| Tabela 4. Udziały w rynku w uwzględnionej populacji docelowej .....                                                                                                                                                                   | 23 |
| Tabela 5. Oszacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana we wnioskowanym wskazaniu .....                                                                                                        | 23 |
| Tabela 6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....                                                                                                  | 24 |
| Tabela 7. Koszty nieróżniące oceniane technologie medyczne .....                                                                                                                                                                      | 25 |
| Tabela 8. Schematy dawkowania w terapiach zawartych w BSC .....                                                                                                                                                                       | 26 |
| Tabela 9. Ceny leku Ayvakyt® uwzględnione w analizie (PLN) .....                                                                                                                                                                      | 27 |
| Tabela 10. Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie (PLN) .....                                                                                                                                                  | 28 |
| Tabela 11. Koszty terapii AVA i BSC na cykl oraz w przeliczeniu na rok (PLN) .....                                                                                                                                                    | 29 |
| Tabela 12. Koszty ponoszone w terapii awaprytynibem (AVA) w zależności od okresu rozpoczęcia leczenia w czasie roku z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego ..... | 30 |
| Tabela 13. Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego .....                                 | 31 |
| Tabela 14. Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego .....                                             | 32 |

---

|                                                                                                                                                                                                                                       |    |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 15. Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego.....                                 | 32 |
| Tabela 16. Koszty ponoszone w terapii AVA w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego.....                                             | 32 |
| Tabela 17. Koszty ponoszone w terapii BSC w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w perspektywie płatnika publicznego (PLN) – koszt na jednego chorego .....                                                                        | 32 |
| Tabela 18. Koszty ponoszone w terapii BSC w zależności od roku rozpoczęcia leczenia w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego .....                                                                                    | 32 |
| Tabela 19. Koszty ponoszone na lek Ayvakyt® w zależności od roku rozpoczęcia leczenia z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego .....  | 33 |
| Tabela 20. Koszty ponoszone na lek Ayvakyt® w zależności od roku rozpoczęcia leczenia bez uwzględnienia umowy podziału ryzyka w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej (PLN) – koszt na jednego chorego ..... | 33 |
| Tabela 21. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....                                                                                                                                                               | 34 |
| Tabela 22. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS.....                                                                                                                               | 37 |
| Tabela 23. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS.....                                                                                                                              | 37 |
| Tabela 24. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS.....                                                                                                                                           | 38 |
| Tabela 25. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS.....                                                                                                                                          | 38 |

---

---

|                                                                                                                                                                                    |    |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----|
| Tabela 26. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji z RSS .....                                                          | 40 |
| Tabela 27. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji bez RSS.....                                                         | 43 |
| Tabela 28. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS .....                                                                      | 46 |
| Tabela 29. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS .....                                                                    | 49 |
| Tabela 30. Aspekty społeczne i etyczne.....                                                                                                                                        | 53 |
| Tabela 31. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> ..... | 60 |

---

---

## 10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....16

---

---

## 11. Bibliografia

Amon U., Hartmann K., Horny H.P., Nowak A., „Mastocytosis - an update.” *J Dtsch Dermatol Ges.* 2010 Sep;8(9):695-711; quiz 712. English, German.

Analiza ekonomiczna. „Ayvakyt® (awaprytynib) w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.” MAHTA 2026

Analiza kliniczna. „Ayvakyt® (awaprytynib) w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym.” MAHTA 2026

Analiza problemu decyzyjnego. „Ayvakyt® (awaprytynib) w leczeniu chorych na indolentną mastocytozę układową z objawami o nasileniu umiarkowanym lub ciężkim, niedostatecznie kontrolowanymi leczeniem objawowym. Analiza problemu decyzyjnego.” MAHTA 2025

AWA Ayvakyt. „Analiza weryfikacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wniosek o objęcie refundacją leku Ayvakyt (awaprytynib) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych na zaawansowane postacie mastocytozy układowej (ICD-10: C96.2, C94.3, D47.9)”.” Analiza weryfikacyjna. Nr: OT.423.1.24.2024 [https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2024/062/AWA/62\\_AWA\\_OT.423.1.24.2024\\_Ayvakyt\\_BIP\\_REOPTR.pdf](https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2024/062/AWA/62_AWA_OT.423.1.24.2024_Ayvakyt_BIP_REOPTR.pdf) (data dostępu: 03.03.2026 r.)

AWA Qinlock. „Analiza weryfikacyjna Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wniosek o objęcie refundacją leku Qinlock (ripiretynib) w ramach programu lekowego „Leczenie chorych z zaawansowanym nowotworem podścieliskowym przewodu pokarmowego (GIST) (ICD-10: C.15, C.16, C.17, C.18, C.20, C.48)”.” Analiza weryfikacyjna Nr: OT.423.1.76.2024 [https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2024/211/AWA/211\\_AWA\\_OT.423.1.76.2024\\_Qinlock\\_14.02.2025\\_BIP\\_REOPTR.pdf](https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2024/211/AWA/211_AWA_OT.423.1.76.2024_Qinlock_14.02.2025_BIP_REOPTR.pdf) (data dostępu: 03.03.2026 r.)

Badanie ankietowe z ekspertem klinicznym [REDACTED]

ChPL Allegra®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Allegra®”

ChPL Ayvakyt®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Ayvakyt®”

ChPL Celestone®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Celestone®”

ChPL Clatra®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Clatra®”

ChPL Desloratadine Mylan®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Desloratadine Mylan®”

ChPL Encortolon®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Encortolonv®”

ChPL Famogast®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Famogast®”

ChPL Hydroxyzinum VP®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Hydroxyzinum VP®”

---

ChPL Lansoprazole Genoptim®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Lansoprazole Genoptim®”

ChPL Loratadyna Galena®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Loratadyna Galena®”

ChPL Nodisen®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Nodisen®”

ChPL Pantoprazole Mylan®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Pantoprazole Mylan®”

ChPL Prazol®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Prazol®”

ChPL Rupafin®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Rupafin®”

ChPL Rupaller®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Rupaller®”

ChPL Zulbex®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Zulbex®”

ChPL Zyrtec®. „Charakterystyka Produktu Leczniczego Zyrtec®”

EMA 2024. „European Medicines Agency Science Medicines Health, Ayvakyt (awaprytynib) Przegląd wiedzy na temat leku Ayvakyt i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE,, EMA/510102/2023 ,EMA/H/C/005208, 2024

Dane NFZ. „Komunikat o refundacji aptecznej za I.2024-XI 2025 / Komunikaty DGL – Wartość refundacji cen leków według kodów EAN, dane ze Sprawozdań NFZ za I połowę 2024 r. ” Narodowy Fundusz Zdrowia

Gotlib J., Castells M., Elberink H.O. i in., „Avapritinib versus Placebo in Indolent Systemic Mastocytosis,” *NEJM Evidence* t. 2 nr 6 (2023), <https://evidence.nejm.org/doi/10.1056/EVIDoA2200339> (data dostępu: 03.03.2026 r.)

GUS 2025. „Struktura ludności według wieku od 1970 r.” Główny Urząd Statystyczny <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-piramida/> (data dostępu: 03.03.2026 r.)

Hus 2021. „Hus M., Szudy-Szczyrek A., Mastocytoza przewodnik.” 2021 [https://hematoonkologia.pl/uploads/Poradnik\\_Mastocytoza\\_PL2103090679\(1\).pdf](https://hematoonkologia.pl/uploads/Poradnik_Mastocytoza_PL2103090679(1).pdf) (data dostępu: 03.03.2026 r.)

Kibsgaard 2020. „Kibsgaard L., Deleuran M., Flohr C. i in., “How "benign" is cutaneous mastocytosis? A Danish registry-based matched cohort study.” *Int J Womens Dermatol.* 2020 Jun 1;6(4):294-300.

Orphanet 2025. „<https://www.orpha.net/en/disease/detail/98848> (data dostępu: 03.03.2026 r.)

- 
- Romantowski 2023. „Romantowski J., „Zastosowanie dupilumabu w leczeniu mastocytozy układowej o powolnym przebiegu z zajęciem skóry – MAnaskin.” *numer Projektu: 2023/ABM/01/00007* <https://badaniakliniczne.gumed.edu.pl/75933.html> (data dostępu: 03.03.2026 r.)
- 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”, *Dz.U. 2023 poz. 2345*
- Rozporządzenie MZ w sprawie priorytetów zdrowotnych. „Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2021 r. zmieniające rozporządzenie w sprawie priorytetów zdrowotnych”, *Dz.U. 2021 poz. 2144*
- Ustawa o refundacji. „Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych”, *Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.*
- Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej. „Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych”, *Dz. U. Nr. 210, poz. 2135*
- van Doormaal J.J., Arends S., Brunekreeft K.L. i in., “Prevalence of indolent systemic mastocytosis in a Dutch region.” *J Allergy Clin Immunol. 2013 May;131(5):1429-31.e1.*
- Wykaz leków refundowanych. „Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 grudnia 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2026 r.”, <https://www.gov.pl> (data dostępu 03.03.2026 r.)
- Wytyczne AOTMiT. „Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych.” Warszawa 2016
- Zarządzenie ambulatoryjna opieka specjalistyczna. „Zarządzenie 103/2025/DSOZ z dnia 30 grudnia 2025 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju: ambulatoryjna opieka specjalistyczna”
- Zarządzenie leczenie szpitalne. „Zarządzenie nr 14/2026/DSOZ z dnia 9 lutego 2026 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne”
- Zarządzenie programy lekowe. „Zarządzenie nr 11/2026/DGL z dnia 28 stycznia 2026 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe”
-

