Jaypirca (pirtobrutynib) - Chłoniaka z komórek płaszcza (ang. Mantle cell lymphoma, MCL) Analiza wpływu na system ochrony zdrowia

Wykonawca:
Instytut Arcana
a CERTARA Company

Dane kontaktowe:
ul. Kuklińskiego 17
30-720 Kraków
tel./fax +48 12 26 36 038

Analiza wykonana na zlecenie:
Eli Lilly Polska Sp. z o.o.

[redacted]

© Instytut Arcana a CERTARA Company
Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach, jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Zleceniodawca	**Eli Lilly Polska Sp. z o.o.**	ul. Żwirki i Wigury 18a 02-092 Warszawa
Wykonawca	**Instytut Arcana** **a CERTARA Company**	ul. Kuklińskiego 17 30-720 Kraków tel./fax. +48 12 263 60 38

Spis treści

Indeks skrótów **7**

1. Wstęp **10**

1.1. Cel analizy 10

1.1. Aktualny stan refundacyjny produktu leczniczego Jaypirca 10

[redacted] 10

2. Metodyka i założenia analizy wpływu na budżet **12**

2.1. Populacja 12

2.2. Perspektywa 12

2.3. Porównywane scenariusze i warianty analizy 12

2.4. Horyzont czasowy 12

2.5. Dyskontowanie 12

2.6. Kalkulator 13

2.7. Forma przedstawienia wyników 13

2.8. Podsumowanie metodyki analizy 13

3. Oszacowanie liczebności populacji **14**

3.1. Populacja pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana 14

[redacted] 15

3.3. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana 16

3.4. Podsumowanie oszacowania liczebności populacji 16

4. Udziały w rynku i zużycie zasobów **18**

4.1. Scenariusz istniejący 18

[redacted] 18

[redacted] **20**

[redacted] 20

5.2. Koszty terapii standardowej (SoC) 20

5.3. Koszty podania leków 23

5.4. Koszty diagnostyki i monitorowania 23

5.5. Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych 24

5.6. Koszty opieki terminalnej 25

[redacted] 25

6. Wyniki analizy wpływu na budżet 26

6.1. Analiza podstawowa 26

6.1. Analiza wrażliwości 27

7. Aspekty etyczne, społeczne, prawne i wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych . 28

8. Wyniki i wnioski końcowe 30

9. Piśmiennictwo 31

10. Spis tabel, rysunków i wykresów 34

Streszczenie

Cel analizy

Celem analizy było zbadanie wpływu na system ochrony zdrowia wprowadzenia finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Jaypirca (substancja aktywna: pirtobrutynib) w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem z komórek płaszcza (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) uprzednio leczeni inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*, BTK) pod kątem jego finansowania ze środków publicznych w ramach proponowanego zmodyfikowanego Programu Lekowego B.12.FM [34].

Analizę przeprowadzono zgodnie z obowiązującymi wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) dotyczącymi oceny technologii medycznych [1] oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia (MZ) z dnia 24 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań dla analiz uwzględnianych we wnioskach refundacyjnych.

Opracowanie wykonano na zlecenie firmy *Eli Lilly Polska Sp. z o.o.*

Metodyka i założenia

W analizie wpływu na budżet oszacowano koszty generowane przez dwa scenariusze sytuacyjne:

- scenariusz istniejący, zakładający brak refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu i zachowanie aktualnej praktyki kliniczne (SoC);
- scenariusz nowy, uwzględniający wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Jaypirca zgodnie z projektem zmodyfikowanego programu lekowego B.12.FM.

Oszacowanie liczebności populacji docelowej oraz prognozę liczby pacjentów leczonych pirtobrutynibem przyjęto w oparciu o prognozy Wnioskodawcy.

Obliczenia przeprowadzono dla horyzontu dwuletniego, przyjmując datę 1 stycznia 2027 roku za prawdopodobny termin wprowadzenia refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu.

Koszty oszacowano z perspektywy płatnika publicznego. Uwzględniono kategorie kosztów istotne z perspektywy płatnika publicznego: koszty refundacji leków, koszty podania leków, koszty diagnostyki i monitorowania. Koszty jednostkowe zaczerpnięto z zarządzeń Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ); danych sprawozdawanych przez NFZ; opublikowanych polskich analiz ekonomicznych.

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach: z uwzględnieniem proponowanego przez Wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) oraz bez uwzględnienia RSS dla pirtobrutynibu.

Przeprowadzono analizę wariantów skrajnych (warianty minimalny i maksymalny), w których oszacowano wpływ na budżet przy założeniu zmiany prognozowanej liczebności populacji docelowej o +/-10% w stosunku do prognozy podstawowej.

Wyniki analizy

[redacted]

[redacted]

Nie zidentyfikowano aspektów etycznych, społecznych oraz prawnych przeciwko wprowadzeniu refundacji produktu leczniczego Jaypirca.

Wnioski końcowe

Analiza wpływu na budżet wskazała na dodatkowe nakłady związane z wprowadzeniem refundacji pirtobrutynibu. Równocześnie pirtobrutynib stanowi realną opcję terapeutyczną dla pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszcza, którzy przeszli wiele linii leczenia, zaspokajając największą potrzebę medyczną – dostęp do terapii. Znaczenie tej niezaspokojonej potrzeby zostało wyraźnie dostrzeżone przez środowisko kliniczne, czego wyrazem jest umieszczenie pirtobrutynibu (w MCL), na liście dziesięciu priorytetowych terapii w dziedzinie hematoonkologii, które wymagają pilnego objęcia refundacją w Polsce [**16**].

Indeks skrótów

Oznaczenie	Wyjaśnienie
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	Analiza weryfikacyjna
BTK	Kinaza tyrozynowa Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*)
CLL	Przewlekła białaczka limfocytowa (ang. *chronic lymphocytic leukaemia*)
HTA	Ocena technologii medycznych (ang. *Health Technology Assessment*)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
MCL	Chłoniak z komórek płaszcza (ang. *mantle cel lymphoma*)
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PL	Program lekowy
RSS	Instrument dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*)

Streszczenie

Cel analizy

Celem analizy było zbadanie wpływu na system ochrony zdrowia wprowadzenia finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Jaypirca (substancja aktywna: pirtobrutynib) w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem z komórek płaszcza (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) uprzednio leczeni inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*, BTK) pod kątem jego finansowania ze środków publicznych w ramach proponowanego zmodyfikowanego Programu Lekowego B.12.FM [34].

Analizę przeprowadzono zgodnie z obowiązującymi wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) dotyczącymi oceny technologii medycznych [1] oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia (MZ) z dnia 24 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań dla analiz uwzględnianych we wnioskach refundacyjnych.

Opracowanie wykonano na zlecenie firmy *Eli Lilly Polska Sp. z o.o.*

Metodyka i założenia

W analizie wpływu na budżet oszacowano koszty generowane przez dwa scenariusze sytuacyjne:

- scenariusz istniejący, zakładający brak refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu i zachowanie aktualnej praktyki kliniczne (SoC);
- scenariusz nowy, uwzględniający wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Jaypirca zgodnie z projektem zmodyfikowanego programu lekowego B.12.FM.

Oszacowanie liczebności populacji docelowej oraz prognozę liczby pacjentów leczonych pirtobrutynibem przyjęto w oparciu o prognozy Wnioskodawcy.

Obliczenia przeprowadzono dla horyzontu dwuletniego, przyjmując datę 1 stycznia 2027 roku za prawdopodobny termin wprowadzenia refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu.

Koszty oszacowano z perspektywy płatnika publicznego. Uwzględniono kategorie kosztów istotne z perspektywy płatnika publicznego: koszty refundacji leków, koszty podania leków, koszty diagnostyki i monitorowania. Koszty jednostkowe zaczerpnięto z zarządzeń Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ); danych sprawozdawanych przez NFZ; opublikowanych polskich analiz ekonomicznych.

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach: z uwzględnieniem proponowanego przez Wnioskodawcę instrumentu dzielenia ryzyka (RSS) oraz bez uwzględnienia RSS dla pirtobrutynibu.

Przeprowadzono analizę wariantów skrajnych (warianty minimalny i maksymalny), w których oszacowano wpływ na budżet przy założeniu zmiany prognozowanej liczebności populacji docelowej o +/-10% w stosunku do prognozy podstawowej.

Wyniki analizy

[redacted]

[redacted]

Nie zidentyfikowano aspektów etycznych, społecznych oraz prawnych przeciwko wprowadzeniu refundacji produktu leczniczego Jaypirca.

Wnioski końcowe

Analiza wpływu na budżet wskazała na dodatkowe nakłady związane z wprowadzeniem refundacji pirtobrutynibu. Równocześnie pirtobrutynib stanowi realną opcję terapeutyczną dla pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszcza, którzy przeszli wiele linii leczenia, zaspokajając największą potrzebę medyczną – dostęp do terapii. Znaczenie tej niezaspokojonej potrzeby zostało wyraźnie dostrzeżone przez środowisko kliniczne, czego wyrazem jest umieszczenie pirtobrutynibu (w MCL), na liście dziesięciu priorytetowych terapii w dziedzinie hematoonkologii, które wymagają pilnego objęcia refundacją w Polsce [**16**].

1. Wstęp

1.1. Cel analizy

Celem analizy było zbadanie wpływu na system ochrony zdrowia wprowadzenia finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego Jaypirca (substancja aktywna: pirtobrutynib) w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem z komórek płaszcza (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) uprzednio leczeni inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*, BTK) pod kątem jego finansowania ze środków publicznych w ramach proponowanego Programu Lekowego [34].

Analizę przeprowadzono zgodnie z obowiązującymi wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) dotyczącymi oceny technologii medycznych [1] oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia (MZ) z dnia 24 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań dla analiz uwzględnianych we wnioskach refundacyjnych.

Opracowanie wykonano na zlecenie firmy *Eli Lilly Polska Sp. z o.o.*

1.1. Aktualny stan refundacyjny produktu leczniczego Jaypirca

Aktualnie produkt leczniczy Jaypirca nie znajduje się na wykazie leków refundowanych [29].

[redacted]

[redacted]

2. Metodyka i założenia analizy wpływu na budżet

2.1. Populacja

Populację docelową stanowią dorośli pacjenci z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem z komórek płaszcza (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) uprzednio leczeni inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*, BTK) kwalifikujący się do proponowanego Programu Lekowego B.12 FM (uwzględniającego dodanie opcji terapeutycznej pirtobrutynibem) [34]. Wnioskowane wskazanie zgodne jest z zarejestrowanym w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL) [11].

Szczegółowy opis programu lekowego znajduje się w analizie problemu decyzyjnego [36]. Sposób oszacowania liczebności populacji docelowej opisano w rozdziale 3.2.

2.2. Perspektywa

Uwzględniono perspektywę finansową płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) odpowiedzialnego za refundację leków oraz świadczeń ambulatoryjnych i szpitalnych dla pacjentów z przedmiotowej populacji.

W zakresie kategorii kosztów uwzględnionych w analizie, płatnik publiczny ponosi całość wydatków. Wobec powyższego perspektywa płatnika publicznego i perspektywa wspólna płatnika (NFZ + pacjent) są sobie równe.

2.3. Porównywane scenariusze i warianty analizy

W analizie oszacowano koszty generowane przez dwa scenariusze sytuacyjne:

- scenariusz istniejący, zakładający brak refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu i zachowanie aktualnej praktyki klinicznej;
- scenariusz nowy, uwzględniający wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Jaypirca zgodnie z projektem programu lekowego B.12 FM (uwzględniającego dodanie opcji terapeutycznej pirtobrutynibem [34]).

2.4. Horyzont czasowy

Niniejszą analizę przeprowadzono dla 2-letniego horyzontu czasowego, przyjmując datę 1 stycznia 2027 roku za prawdopodobny termin wprowadzenia refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu.

Celem analizy wpływu na budżet jest ocena skutków danej technologii medycznej dla rocznego budżetu opieki zdrowotnej w okresie kilku lat od jej wprowadzenia lub zakończenia finansowania. Analiza powinna obejmować przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku lub obejmujący co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii ze środków publicznych [35,1].

2.5. Dyskontowanie

Analiza wpływu na budżet płatnika pokazuje przepływ środków finansowych w czasie, dlatego nie zastosowano dyskontowania kosztów [1].

2.6. Kalkulator

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z wykorzystaniem kalkulatora skonstruowanego w programie *Microsoft Excel*. W arkuszu zachowano pełne wartości parametrów i wyników, podczas gdy w dokumencie przedstawiono je w formie zaokrąglonej.

2.7. Forma przedstawienia wyników

W analizie oszacowano wpływ wprowadzenia finansowania produktu leczniczego Jaypirca na roczne wydatki płatnika publicznego w każdym roku przyjętego horyzontu czasowego, w odniesieniu do wnioskowanego wskazania i docelowej populacji. Wyniki dla obu scenariuszy przedstawiono w postaci całkowitych wydatków oraz z podziałem na poszczególne kategorie kosztowe. Odnośnie kosztów łącznych oraz poszczególnych kategorii kosztów zaprezentowano inkrementalne koszty związane z realizacją nowego scenariusza. Koszty inkrementalne obliczono jako różnicę pomiędzy kosztem generowanym przez scenariusz nowy oraz kosztem generowanym przez scenariusz istniejący.

Zaprezentowano również zużycie zasobów, wyrażone liczbą pacjentów.

W analizie uwzględniono proponowane przez Wnioskodawcę instrument dzielenia ryzyka (RSS). W wariancie z RSS wzięto pod uwagę rzeczywiste koszty ponoszone przez płatnika publicznego na refundację uwzględnionych leków, natomiast w wariancie bez RSS zastosowano oficjalną cenę wnioskowanego leku.

Wpływ modyfikacji przyjętych założeń na wyniki zbadano w analizie wrażliwości.

2.8. Podsumowanie metodyki analizy

Tabela 2. Podsumowanie strategii analitycznej

Parametr	Opis
Populacja docelowa	Dorośli pacjenci z nawrotowym lub opornym na leczenie (ang. *mantle cell lymphoma*, MCL) leczeni wcześniej inhibitorem BTK kwalifikujący się do zmienionego programu lekowego B12 FM
Perspektywa analizy	Perspektywa podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. perspektywa Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).
Założenia scenariusza istniejącego	Brak refundacji produktu leczniczego Jaypirca we wnioskowanym wskazaniu i zachowanie aktualnej praktyki klinicznej;
Założenia scenariusza nowego	Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Jaypirca zgodnie z projektem zmienionego programu lekowego B.12 FM
Horyzont czasowy	Dwuletni (od stycznia 2027 roku do grudnia 2028 roku)
Dyskontowanie	Brak dyskontowania

3. Oszacowanie liczebności populacji

3.1. Populacja pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Produkt leczniczy Jaypirca (pirtobrutynib) jest zarejestrowany w następujących wskazaniach:

- Produkt leczniczy Jaypirca w monoterapii jest przeznaczony do stosowania w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotowym lub opornym na leczenie chłoniakiem z komórek płaszcza (ang. *mantle cel lymphoma*, MCL) leczonych wcześniej inhibitorem kinazy tyrozynowej Brutona (ang. *Bruton's tyrosine kinase*, BTK).
- Produkt leczniczy Jaypirca w monoterapii jest wskazany do stosowania w leczeniu dorosłych pacjentów z nawrotową lub oporną na leczenie przewlekłą białaczką limfocytową (ang. *chronic lymphocytic leukaemia*, CLL) leczonych wcześniej inhibitorem BTK. [11]

Chłoniak z komórek płaszcza (MCL)

Zgodnie z danymi z Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) [13] liczba pacjentów (według niepowtarzalnych numerów PESEL) z rozpoznaniem ICD-10 głównym (C85.7), którzy otrzymali jakiekolwiek świadczenie refundowane przez NFZ w latach 2020-2025 w rozbiciu rocznym przedstawiona została w tabeli poniżej.

Tabela 3. Chorobowość pacjentów (według niepowtarzalnych numerów PESEL) z rozpoznaniem ICD-10 C85.7 w latach 2020-2025 [13]

Kod ICD-10	Liczebność pacjentów					
	2020	2021	20222	2023	2024	2025
C85.7	7 852	8 129	8 394	8 970	9 554	7 311

Ponieważ rozpoznanie C85.7 określone jest w Międzynarodowej Statystycznej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych jako *„Inne określone postacie chłoniaka nieziarniczego"*, Centrala NFZ nie ma wiedzy czy wszystkie sprawozdane przez ośrodki lecznicze z tym rozpoznaniem świadczenia dotyczą jedynie pacjentów chorych na chłoniaka z komórek płaszcza [13].

W oparciu o 10-letnie wskaźniki chorobowości 3,6/100 000 osób w Polsce żyje około 1 350 chorych z MCL [7,15], równocześnie rokrocznie diagnozowanych jest około 400 chorych [19]. Analogiczne przyjmując zgodnie z danymi z bazy SEER US [38] roczną zapadalność na MCL na poziomie:

- 0,5 na 100 000 w grupie osób w wieku 20-64 lat
- 4,5 na 100 000 w grupie osób w wieku 65 i więcej lat

oraz uwzględniając ludności Polski (GUS 2024 [15]) w wyżej wymienionych grupach wiekowych a poziomie 23 018 246 osób oraz 7 722 734 osób, wyznaczono roczną zapadalność na MCL na poziomie 403 chorych w skali roku (348 w wieku ≥65 lat oraz 55 nowych przypadków MCL rocznie w wieku poniżej 65 lat).

[redacted]

[redacted]

Przewlekła białaczka limfocytowa (CLL)

[redacted]

3.3. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

3.4. Podsumowanie oszacowania liczebności populacji

Zestawienie wyników przeprowadzonego oszacowania liczebności populacji zamieszczono w poniższej tabeli.

Tabela 5. Podsumowanie oszacowania liczebności populacji

Wariant	Liczba pacjentów		
	Stan aktualny	I rok	II rok
Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Populacja docelowa, wskazana we wniosku refundacyjnym	[redacted]	[redacted]	[redacted]
Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	[redacted]	[redacted]	[redacted]

4. Udziały w rynku i zużycie zasobów

W poniższych rozdziałach przedstawiono udziały rynkowe w populacji docelowej przyjęte w scenariuszu istniejącym oraz w scenariuszu nowym (zakładającym wprowadzenie finansowania produktu Jaypirca ze środków publicznych w rozpatrywanym wskazaniu). Udziały w rynku, przyłożone do określonej w poprzednim rozdziale liczebności populacji docelowej, stanowią podstawę do oszacowania zużycia zasobów w analizie.

4.1. Scenariusz istniejący

W scenariuszu istniejącym uwzględniono terapie obecnie stosowane w populacji chorych na MCL. [redacted]

Tabela 6. Udziały w rynku oraz liczba pacjentów leczonych w scenariuszu istniejącym

	2027	2028
Udział w liczbie leczonych pacjentów		
Pirtobrutynib	**0,00%**	**0,00%**
SoC	100,00%	100,00%
Łącznie	**100%**	**100,00%**
[redacted]		
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

[redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]		
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]		

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

[redacted]

5. Parametry kosztowe

[redacted]

5.2. Koszty terapii standardowej (SoC)

[redacted]

[redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]

[redacted] Warto zaznaczyć, iż model globalny zawiera szeroką funkcjonalność umożliwiającą zmianę wprowadzcnych parametrów wejściowych, w szczególności przypisania kosztów i udziałów do wyżej wymienionych leków. W przypadku leków stosowanych w ramach terapii standardowej SoC uwzględniono ceny realne (tj. rzeczywiste koszty ponoszone na poszczególne terapie wynikające z proponowanych znacznie korzystniejszych cen w ramach prowadzonych przetargów vs oficjalne limity finansowania wynikające z Obwieszczenia MZ [29]):

- W przypadku leków posiadających refundowane odpowiedniki wykorzystano komunikat NFZ dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do lipca 2025 r. [24],
- W przypadku pozostałych leków w SoC (ibrutynib, akalabrutynib oraz winkrystyna) wykorzystano ceny realne wyznaczone w oparciu o dane NFZ o kwocie refundacji oraz liczbie zrefundowanych jednostek leków [31].

Tabela 9.Oszacowanie kosztu poszczególnych terapii lekowych uwzględnione w ramach SoC

Substancja	Koszt leku / mg [PLN]	Koszt /pojedyńcza dawka [PLN]	Liczba dawek /cykl (28 dni)	Koszt /cykl (28 dni) w modelu [PLN]
Acalabrutinib	1,505 PLN (0,00 PLN)*	0.00	28,00	0 PLN*
Bendamustine	1,102PLN	151,15	2,00	302 PLN
Bortezomib	28,656 PLN (0,00 PLN)*	0.00	5,33	0 PLN*
Cyclophosphamide	0,043 PLN	102,75	1,14	117 PLN
Cytarabine	0,088 PLN	85,86	3,00	258 PLN
Doxorubicin	0,751 PLN	66,26	1,33	88 PLN
Ibrutynib	0,674 PLN	377,53	28,00	10 571 PLN
Lenalidomide	0,937 PLN	23,42	21,00	492 PLN
Rituximab	1,820 PLN	1338,02	1,00	1 338 PLN
Vincristine	28,656 PLN	81,44 PLN	4,00	336 PLN

[redacted] Analogicznie jak autorzy analizy ekonomicznej do zlecenia 48/2025 [9] koszt procedury alloHSCT i autoHSCT określono na podstawie najnowszych dostępnych danych statystycznych Narodowego Funduszu Zdrowia (Portal Statystyki NFZ [32]) oraz wyceny punktowej NFZ [18] (patrz analiza ekonomiczna dla Jaypirca [28]).

Tabela 10. Koszt jednostkowy: przeszczep allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych

Kod grupy[1]	Liczba hospitalizacji[1]	Wartość punktowa - hospitalizacja[1]	Wycena monetarna punktu[2]	Średni koszt procedury [PLN][3]
S21 Przeszczepienie autologicznych komórek krwiotwórczych	1 170	58 438,72	1,78 PLN /punkt	**104 020,92 zł**
S22 Przeszczepienie allogenicznych komórek krwiotwórczych od rodzeństwa identycznego w HLA	139 (18,9%)	171 679,21		**527 929,97 zł**
S23 Przeszczepienie allogenicznych komórek krwiotwórczych od dawcy alternatywnego	596 (81,1%)	325 721,72		

[1] Zgodnie z najnowszymi dostępnymi statystykami NFZ (2024 rok) [32]

[2] Zgodnie z informatorem o umowach NFZ [18]

[3] Obliczenia własne: iloczyn wartości punktowej świadczenia oraz wyceny monetarnej punktu. W przypadku alloHSCT uwzględniono ponadto rozkład hospitalizacji pomiędzy grupami S22 i S23.

W przypadku przeszczepów od niespokrewnionego dawcy (grupa S23) dodatkowo uwzględniono *Koszt procedury doboru niespokrewnionych dawców szpiku* na poziomie 15 000,00 PLN (Poltransplant 2025 [30]),

stąd w modelu zaimplementowano średni dodatkowy koszt związany z doborem dawcy na poziomie **12 068,18 PLN** (=15 000,00 PLN x 80,5%).

5.3. Koszty podania leków

W analizie przyjęto, że podanie leków dostępnych w formie doustnej (pirtobrutynib oraz ibrutynib) nie będzie wiązać się, z dodatkowymi kosztami (opakowania leków będą wydawane w ramach wizyt kontrolnych oraz monitorowania leczenia. W przypadku leków podawanych w formie wlewów (m.in. rytuksymab) przyjęto, że wymagana jest hospitalizacja w dniu podania leku (tj. 729,30 PLN – patrz poniższa tabela).

Tabela 11. Koszty jednostkowe świadczeń związanych z podaniem leków

Świadczenie	Wartość punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Wycena świadczenia	Komentarz / źródło danych
Świadczenia w ramach programów lekowych				
Hospitalizacja związana z wykonaniem programu / Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu	497,90 / 486,72	1,87 zł/punkt	931,07 zł / 910,17 zł	Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy lekowe [21]
Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu	108,16	1,87 zł/punkt	202,26 zł	
Świadczenia w ramach chemioterapii				
Hospitalizacja hematologiczna u dorosłych	697,18	1,87 zł/punkt	1 303,73 zł	Katalog świadczeń podstawowych [22]
Hospitalizacja jednego dnia związana z podaniem leku z części A katalogu leków	390	1,87 zł/punkt	729,30 zł	
Hospitalizacja jednego dnia w pozostałych przypadkach	322	1,87 zł/punkt	602,14 zł	
Podstawowa porada ambulatoryjna dotycząca chemioterapii	181	1,87 zł/punkt	338,47 zł	

5.4. Koszty diagnostyki i monitorowania

W modelu przyjęto konserwatywnie koszt monitorowania chorych leczonych pirtobrutynibem przebywających w stanie PFS na poziomie 5 102,30 PLN w skali roku (tj. maksymalny koszt monitorowania w programie lekowym), natomiast w przypadku chorych leczonych SoC w stanie PFS oraz chorych po progresji (stan PD niezależnie od terapii) uwzględniono minimalny koszt okresowej oceny skuteczności chemioterapii przeprowadzanej raz na kwartał (tj. 505,65 PLN raz na 3 miesiące).

Tabela 12. Koszty jednostkowe świadczeń związanych z monitorowaniem i diagnostyką w przebiegu terapii chorych na MCL

Świadczenie	Wartość punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Wycena świadczenia	Komentarz / źródło danych
Świadczenia w ramach programów lekowych				
Diagnostyka w programie leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (polatuzumab,	2 728,50	1,87 zł/punkt	5 102,30 zł	

Świadczenie	Wartość punktowa	Cena punktu rozliczeniowego	Wycena świadczenia	Komentarz / źródło danych
tafasytamab, ibrutynib, epkorytamab, glofitamab, zanubrutynib, lonkastuksymab) – 1 rok leczenia				Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych [20]
Diagnostyka w programie leczenia chorych na chłoniaki B-komórkowe (obinutuzumab, mosunetuzumab, tafasytamab, ibrutynib, epkorytamab, glofitamab, zanubrutynib, lonkastuksymab) – 2 i kolejny rok terapii	1 112,64	1,87 zł/punkt	2 080,64 zł	
Świadczenia w ramach chemioterapii				
Okresowa ocena skuteczności chemioterapii	270,40	1,87 zł/punkt	505,65 zł	Świadczenie rozliczane nie częściej niż raz w miesiącu i nie rzadziej niż raz na trzy miesiące. Katalog świadczeń wspomagających [23]

5.5. Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych

W kalkulacjach uwzględniono, że koszty zdarzeń niepożądanych (AEs) występują jednorazowo, co jest uzasadnione przez fakt, iż zdarzenia niepożądane często występują na wczesnym etapie leczenia. Źródłem danych o bezpieczeństwie leczenia pirtobrutynibem było badanie BRUIN. Uwzględniono tylko poważne AEs (stopnia 3-4), które wystąpiły u co najmniej 5% pacjentów lub znajdowały się w zakresie zainteresowania badaczy. W przypadku SoC koszt leczenia zdarzeń niepożądanych nie został uwzględniony ze względu na brak danych dotyczących częstości występowania AEs w bazie ConcertAI Oncology. Koszty przyjęto w oparciu o opublikowane analizy ekonomiczne na stronie BIP AOTMiT oraz statystyki JGP NFZ.

Tabela 13. Pirtobrutynib – koszt jednostkowy leczenia zdarzeń niepożądanych stopnia 3 lub 4 (badanie BRUIN)

Zdarzenie niepożądane (AEs)	Częstość występowania [%]	Koszt jednostkowy leczenia zdarzenia niepożądanego [PLN]	Źródło
Niedokrwistość	7.2%	12 049 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 028/2025 (BIP AOTMiT) [8]
Bóle stawów	1.2%	33 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 187/2019 (BIP AOTMiT) [5]
Migotanie przedsionków	1.8%	1 488 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 041/2023 (BIP AOTMiT) [17]
Krwawienie z przewodu pokarmowego	0.6%	10 258 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 022/2022 [2]; BIP AOTMIT
Bóle głowy	1.2%	3 150 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 053/2025 [3]
Połpasiec	0.6%	3 874 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 064/2023 [4];
Zmniejszenie liczby neutrofili	9.6%	12 049 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 028/2025 (BIP AOTMiT) [8]
Zmniejszenie liczby płytek krwi	7.8%	12 049 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 028/2025 (BIP AOTMiT) [8]
Zapalenie płuc	9.0%	2 654 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 041/2023 (BIP AOTMiT) [17]
Krwawienie z górnego odcinka przewodu pokarmowego	1.2%	10 258 PLN	Analiza ekonomiczna do zlecenia 022/2022 [2]; BIP AOTMIT
Infekcja dróg moczowych	0.6%	1 612 PLN	Statystyka NFZ, średnia wartość grupy JGP: *L29 CHOROBY PĘCHERZA MOCZOWEGO I MOCZOWODU* [32]

5.6. Koszty opieki terminalnej

Koszt opieki paliatywnej w Polsce przyjęto na poziomie 21 646,15 PLN zgodnie z oszacowaniami autorów analizy ekonomicznej do zlecania 48/2025 [9]. Koszt ten jest naliczany w modelu jednorazowo, w momencie śmierci pacjenta (tj. przejście ze stanu PDF lub PD do stanu Zgon).

6. Wyniki analizy wpływu na budżet

6.1. Analiza podstawowa

[redacted]

[redacted]						
[redacted]						
[redacted]						
[redacted]						
[redacted]						
[redacted]						
[redacted]					18 928 897	
[redacted]					33 576 900	

[redacted]

[redacted]

6.1. Analiza wrażliwości

W ramach analizy scenariuszy skrajnych uwzględniono 10% większą/mniejszą liczebność populacji docelowej odpowiednio w ramach scenariusza maksymalnego i minimalnego.

Tabela 17. Wyniki analizy BIA – perspektywa płatnika publicznego (NFZ) – analiza wrażliwości

[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]						
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	18 928 897	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	33 576 900	[redacted]
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]						
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]

[redacted]

7. Aspekty etyczne, społeczne, prawne i wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

W tabeli poniżej zaprezentowano podsumowanie aspektów etycznych, społecznych i prawnych związanych z wprowadzeniem do refundacji pirtobutynibu.

Tabela 18. Podsumowanie analizy aspektów etycznych, społecznych i prawnych

Ocena wpływu decyzji o finansowaniu rozważanej technologii ze środków publicznych	
Wpływ na koszty lub wyniki dotyczące osób innych niż stosujące rozważaną technologię oraz ich opiekunowie	Nie zidentyfikowano
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Brak faworyzacji jakiejkolwiek grupy pacjentów.
Niekwestionowana równość dostępu do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach	Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Jaypirca zapewni równy dostęp do technologii.
Spodziewana duża korzyść dla wąskiej grupy osób/korzyść mała, ale powszechna	Korzyść powszechna w populacji określonej zgodnie z wnioskiem refundacyjnym.
Technologia jako odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych	Nie dotyczy.
Technologia jako odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	Nie dotyczy.
Powodowanie problemów społecznych	Nie powoduje problemów społecznych.
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Zgodnie z wynikami analizy klinicznej pozytywny
Groźba niezaakceptowania postępowania przez poszczególnych chorych	Brak ryzyka braku akceptacji
Powodowanie lub zmiana stygmatyzacji	Nie powoduje ani nie zmienia stygmatyzacji.
Wywoływanie lęku	Nie wywołuje lęku.
Powodowanie dylematów moralnych	Proces leczenia nie powoduje dylematów moralnych.
Stwarzanie problemów dotyczących płci lub rodzinnych	Nie stwarza takich problemów.
Obecność sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie ze środków publicznych jest zgodne z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi.

Stwarzanie konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach	Minimalne zmiany związane z wprowadzeniem zapisów do istniejącego programu lekowego B.12. FM.
Oddziaływanie na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Refundacja nie oddziałuje negatywnie na prawa pacjenta lub prawa człowieka.
Konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody na stosowanie technologii	Stosowanie technologii nie wymaga szczególnego informowania pacjenta bądź odmiennego od standardowego uzyskania jego zgody.
Potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania przy stosowaniu technologii	Stosowanie technologii nie wiąże się z koniecznością zapewnienia pacjentowi poufności postępowania.
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania	Analogicznie jak w przypadku pozostałych leków dostępnych w ramach programu lekowego B.12. FM

8. Wyniki i wnioski końcowe

Pirtobrutynib jest pierwszym i jak dotąd jedynym zarejestrowanym niekowalencyjnym inhibitorem BTK, który może ponownie zahamować aktywność BTK w sytuacji, gdy kowalencyjne inhibitory BTK przestają być skuteczne. Dzięki temu lek ten ma potencjał przełamania oporności i wydłużenia okresu, w którym pacjenci mogą odnosić korzyści z terapii ukierunkowanej na BTK. Pirtobrutynib działa niezależnie od obecności mutacji C481 w genie BTK, która odpowiada za oporność na inhibitory kowalencyjne. Dzięki temu może skutecznie hamować aktywność BTK nawet u pacjentów z opornością na wcześniejsze terapie. Lek wykazuje wysoką selektywność wobec BTK, co ogranicza wpływ na inne kinazy i zmniejsza ryzyko działań niepożądanych typowych dla wcześniejszych generacji inhibitorów a także charakteryzuje się korzystniejszym profilem bezpieczeństwa.

Największym wyzwaniem dla pacjenta w związku z aktualnie stosowanymi terapiami jest ryzyko wystąpienia działań niepożądanych. Wśród korzyści wynikających z zastosowania ocenianej technologii, tj. pirtobrutynibu, wymienia się poprawę wyników leczenia zwłaszcza w zakresie OS oraz jakości życia pacjentów. Istotnym aspektem jest również doustna postać leku, która sprzyja łatwiejszemu stosowaniu terapii oraz może zmniejszać ryzyko konieczności hospitalizacji. Dla pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszcza (MCL), którzy stosowali leczenie BTK, a jednocześnie mają przeciwskazania do terapii CAR-T, lub nie mają do niej dostępu, pirtobrutynib może stanowić wartościową alternatywę terapeutyczną.

Pirtobrutynib stanowi więc realną opcję terapeutyczną dla pacjentów z chłoniakiem z komórek płaszcza, którzy przeszli wiele linii leczenia, zaspokajając największą potrzebę medyczną – dostęp do terapii. Znaczenie tej niezaspokojonej potrzeby zostało wyraźnie dostrzeżone przez środowisko kliniczne, czego wyrazem jest umieszczenie pirtobrutynibu (w MCL), na liście dziesięciu priorytetowych terapii w dziedzinie hematoonkologii, które wymagają pilnego objęcia refundacją w Polsce [16].

Wyniki analizy BIA

[redacted]

9. Piśmiennictwo

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji: Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. *health technology assessment),* wersja 3.0., AOTMiT, Warszawa 2016, https://www.aotm.gov.pl/media/2020/07/20160913_Wytyczne_AOTMiT-1.pdf
2. Analiza ekonomiczna do zlecenia 022/2022; BIP AOTMIT https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/022/AW/22%20OT.4231.14.2022%20Nplate%20AE.pdf
3. Analiza ekonomiczna do zlecenia 053/2025; BIP AOTMIT https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/053/AW/53_AW_OT.423.0.10.2025_Ryeqo_AE.pdf
4. Analiza ekonomiczna do zlecenia 064/2023; BIP AOTMIT https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/064/AW/64_AW_OT.423.0.14.2023_Shingrix_AE.pdf
5. Analiza ekonomiczna do zlecenia 187/2019 BIP AOTMiT; https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/187/AW/187_aw_ot.4331.47.2019_signifor_ae.pdf
6. Analiza ekonomiczna do zlecenia 71/2025; BIP AOTMiT; https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/071/AW/71_AW_Tecartus_OT.423.1.32.2025_AE.pdf
7. AOTMiT AWA OT.4231.42.2022; https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/081/AWA/OT.4231.42.2022_Imbruvica_MCL_16112022_BIP_REOPTR.pdf
8. Balversa® (erdafitynib) w leczeniu dorosłych pacjentów z nieresekcyjnym lub przerzutowym rakiem urotelialnym, z podatnymi zmianami genetycznymi FGFR3, którzy wcześniej otrzymali co najmniej jedną linię leczenia zawierającą inhibitor PD-1 lub PD-L1 w nieresekcyjnym lub przerzutowym stadium. Analiza Ekonomiczna. Wersja 1.1. Kraków 2025. https://bip.aotm.gov.pl/bip2024/assets/files/zlecenia_mz/2025/028/AW/028_AW_OT.423.1.13.2025_Balversa_AE_REOPTR.pdf
9. BIP AOTMiT; Analiza ekonomiczna dla leku Breyanzi (lizokabtagen maraleucel) stosowanego w ramach programu lekowego „Leczenie chorych na chłoniaki B-komórkowe (ICD-10: C82, C83, C85), wersja 1.0, Kraków 2025 r.https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/048/AW/48_AW_Breyanzi_OT.423.1.25.2025_AE_BIP.pdf
10. BIP AOTMiT; anliza wpływu na budżet. Breksukabtagen autoleucel (Tecartus®) w terapii nawrotowego lub opornego na leczenie chłoniaka z komórek płaszcza (MCL) https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/071/AW/71_AW_Tecartus_OT.423.1.32.2025_BIA.pdf
11. Charakterystyka produktu leczniczego Jaypirca. https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/jaypirca-epar-product-information_pl.pdf.
12. Chłoniak - tę diagnozę co roku słyszy ponad 10 tys. Polaków. To stres pacjentów i wysokie koszty; https://www.rynekzdrowia.pl/serwis-hematoonkologia/Chloniak-te-diagnoze-co-roku-slyszy-ponad-10-tys-Polakow-To-stres-pacjentow-i-wysokie-koszty,250722,1023.html

[redacted]

14. DKMS, Chłoniak – objawy, rodzaje, rokowania i leczenie chłoniaków, https://www.dkms.pl/dawka-wiedzy/o-nowotworach-krwi/chloniak-kompendium-wiedzy+
15. GUS; Baza Demografia; https://demografia.stat.gov.pl/BazaDemografia/StartIntro.aspx
16. Hematoonkologia.pl, Priorytety refundacyjne w hematoonkologii – TOP TEN HEMATO 2025, 11 marca 2025, https://hematoonkologia.pl/aktualnosci/id/7756-priorytety-refundacyjne-w-hematoonkologii-top-ten-hemato-2025

17. HTA Consulting. ANALIZA EKONOMICZNA. LECZENIE PRZEWLEKŁEJ BIAŁACZKI LIMFOCYTOWEJ Z WYKORZYSTANIEM ZANUBRUTYNIBU (BRUKINSA®). Wersja 1.0. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/041/AW/41_AW_OT.423.1.15.2023_Brukinsa_AE.pdf.

18. Informator o zawartych umowach NFZ; https://www.nfz.gov.pl/o-nfz/informator-o-zawartych-umowach/

19. Jurczak, W., & Długosz-Danecka, M. (2019). Chłoniak z komórek płaszcza – rola terapii celowanych. Acta Haematologica Polonica, 50(3), 116–120. https://doi.org/10.2478/ahp-2019-0019

20. Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych. Załącznik do zarządzenia Nr 11/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 28 stycznia 2026 r.

21. Katalog świadczeń i zakresów – leczenie szpitalne – programy lekowe. Załącznik do zarządzenia nr 17/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 9 lutego 2026 r.

22. Katalog świadczeń podstawowych. Załącznik do zarządzenia Nr 16/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 9 luty 2026 r.

23. Katalog świadczeń wspomagających. Załącznik Nr 1j do zarządzenia Nr 71/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 4 sierpnia 2025 r.

24. Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do grudnia 2025 r. https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8900.html

[redacted]

29. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 marca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2026 r.

30. POLTRANSPLANT. Biuletyn informacyjny. Nr 1 (34). 2025. https://files.poltransplant.org.pl/Biuletyn_2025_www.pdf, dostęp dnia 29.10.2025.

[redacted]

35. 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), https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20230002345

[redacted]

37. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, (Dz.U. 2024 poz. 930 z późn. zm.), https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20230001938 (data dostępu 01.07.2025).

38. Zhang K. et al., Estimation of the Patient Population Eligible for Pirtobrutynib and the Budget Impact of Pirtobrutynib for Patients with Mantle Cell Lymphoma After Covalent Bruton Tyrosine Kinase Inhibitor Discontinuation in the United States; International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR); Boston, MA; May 7-10, 2023;

10. Spis tabel, rysunków i wykresów

Spis tabel

[redacted] 10

Tabela 2. Podsumowanie strategii analitycznej 13

Tabela 3. Chorobowość pacjentów (według niepowtarzalnych numerów PESEL) z rozpoznaniem ICD-10 C85.7 w latach 2020-2025 [13] 14

[redacted] 15

Tabela 5. Podsumowanie oszacowania liczebności populacji 17

Tabela 6. Udziały w rynku oraz liczba pacjentów leczonych w scenariuszu istniejącym 18

[redacted] 18

[redacted] 21

Tabela 9.Oszacowanie kosztu poszczególnych terapii lekowych uwzględnione w ramach SoC 22

Tabela 10. Koszt jednostkowy: przeszczep allogenicznych krwiotwórczych komórek macierzystych 22

Tabela 11. Koszty jednostkowe świadczeń związanych z podaniem leków 23

Tabela 12. Koszty jednostkowe świadczeń związanych z monitorowaniem i diagnostyką w przebiegu terapii chorych na MCL 23

Tabela 13. Pirtobrutynib – koszt jednostkowy leczenia zdarzeń niepożądanych stopnia 3 lub 4 (badanie BRUIN) 24

[redacted] 25

[redacted] 25

[redacted] 26

Tabela 17. Wyniki analizy BIA – perspektywa płatnika publicznego (NFZ) – analiza wrażliwości 27

Tabela 18. Podsumowanie analizy aspektów etycznych, społecznych i prawnych 28