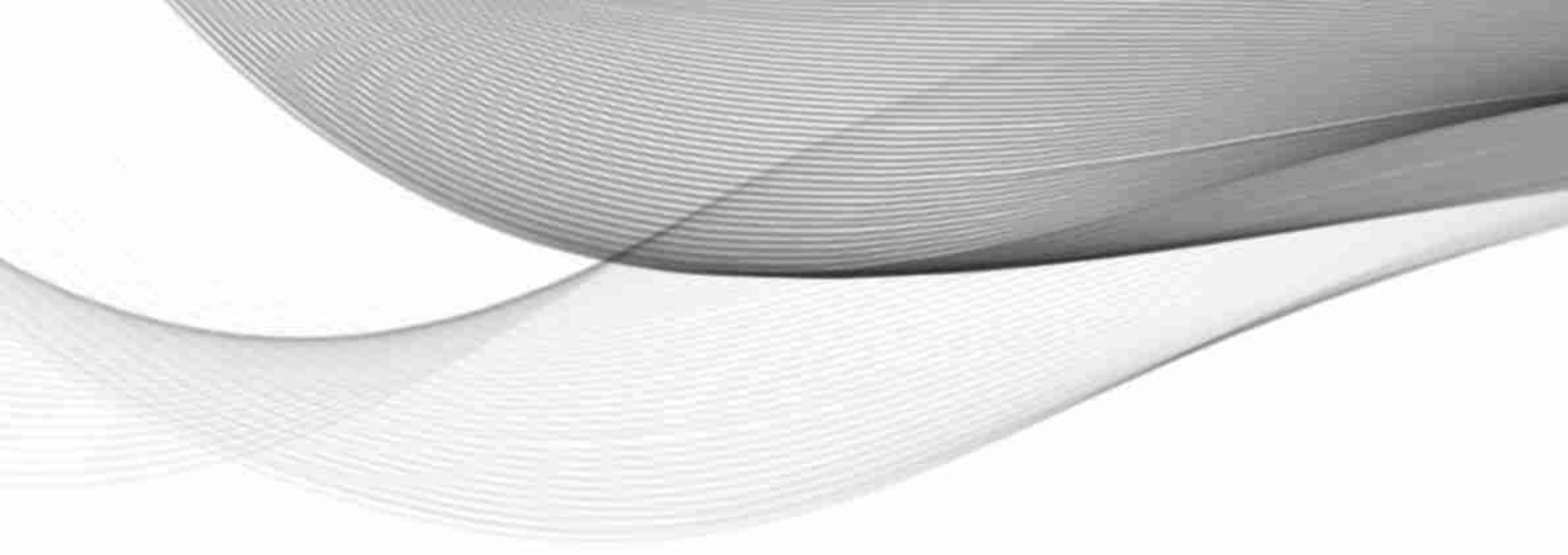




Amvuttra® (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej

Analiza ekonomiczna

Warszawa, 2026

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Konsultacje

[REDACTED]
[REDACTED]

Dane kontaktowe

HealthQuest sp. z o.o.
ul. Mickiewicza 12 lok. 2A
01-517 Warszawa
tel/fax +48 22 468 05 34
kontakt@healthquest.pl
<http://www.healthquest.pl>

Konflikt interesów

Opracowanie zamówione przez Medison Pharma Sp. z o.o.

Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów	5
Streszczenie	7
1 Wprowadzenie	10
1.1 Cel analizy.....	10
1.2 Komparatory	10
1.3 Populacja	10
1.4 Typ analizy ekonomicznej.....	11
1.5 Perspektywa.....	11
1.6 Horyzont czasowy i dyskontowanie	11
1.7 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka	12
1.8 Ustalenie ceny progowej	13
2 Metodyka analizy.....	14
2.1 Ogólna charakterystyka modelu	14
2.1.1 Populacja docelowa w modelu	15
2.1.2 Komparatory w modelu.....	16
2.1.3 Główne źródła danych dotyczących skuteczności uwzględnione w analizie	17
2.1.4 Korekta i długość cyklu	18
2.1.5 Struktura modelu.....	19
2.2 Parametry wejściowe modelu	22
2.2.1 Przegląd istotnych parametrów klinicznych i zmiennych	22
2.3 Charakterystyka początkowa pacjentów.....	24
2.4 Prawdopodobieństwa przejść w modelu	24
[Redacted]	26
[Redacted]	34
[Redacted]	36
[Redacted]	45
[Redacted]	50
[Redacted]	55
[Redacted]	56
[Redacted]	56
[Redacted]	57
[Redacted]	58
[Redacted]	59
[Redacted]	61
[Redacted]	63

		65
		67
		69
		69
		70
		70
		71
		72
		73
		74
2.13	Koszty	76
2.13.1	Koszt substancji	76
2.13.2	Koszt podania leku w ramach programu lekowego	77
2.13.3	Koszty komparatorów	78
2.13.4	Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	80
2.13.5	Koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby	85
2.13.6	Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych	90
2.13.7	Koszt opieki terminalnej	91
2.14	Podsumowanie założeń analizy ekonomicznej oraz parametrów wejściowych do modelu ekonomicznego	93
2.15	Zakres analizy wrażliwości	95
2.15.1	Scenariuszowa analiza wrażliwości	95
2.15.2	Tornado	96
2.15.3	Probabilistyczna analiza wrażliwości	96
2.16	Walidacja modelu	96
2.16.1	Proces walidacji technicznej	97
2.16.2	Proces zapewnienia trafności fasadowej modelu	97
2.16.3	Proces walidacji zewnętrznej	97
2.16.4	Dodatkowa walidacja wewnętrzna	98
3	Wyniki	99
3.1	Analiza podstawowa	99
3.2	Scenariuszowa analiza wrażliwości	101
3.2.1	Scenariusz A	101
3.2.2	Scenariusz B	103
3.2.3	Scenariusz C	106
3.2.4	Scenariusz D	108
3.2.5	Scenariusz E	110
3.2.6	Scenariusz F	111
3.3	Wykresy tornado	112

3.4	Probabilistyczna analiza wrażliwości	113
4	Ograniczenia	115
5	Dyskusja.....	116
6	Wnioski końcowe	118
7	Aneks 1. Przegląd analiz ekonomicznych	119
7.1	Metodyka przeglądu.....	119
7.2	Wyniki przeglądu	120
7.3	Omówienie włączonych badań i wnioski	122
7.3.1	ICER 2024	122
7.3.2	Aimo 2025	124
8	Aneks 2. Przegląd wartości użyteczności.....	126
8.1	Metodyka przeglądu.....	126
8.2	Wyniki przeglądu	127
8.2.1	Eldhagen 2023	129
9	Aneks 3. Tablice trwania życia	130
10	Aneks 4. Alternatywne macierze przejść	135
	Spis rysunków.....	136
	Spis tabel	138
	Bibliografia	142

Wykaz skrótów i akronimów

6-MWT	test sześciominutowego chodu (ang. <i>six-minute walk test</i>)
AIC	kryterium informacyjne Akaike'a (ang. <i>Akaike Information Criterion</i>)
APD	analiza problemu decyzyjnego
ATTR-CM	kardiomiopatia w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ang. <i>transthyretin amyloidosis cardiomyopathy</i>)
ATTR-PN	amyloidoz transtyretynowa przebiegająca z polineuropatią (ang. <i>transthyretin amyloid polyneuropathy</i>)
ATTRv	amyloidoz transtyretynowa dziedziczna (ang. <i>variant transthyretin amyloidosis</i>)
ATTRwt	amyloidoz transtyretynowa typu dzikiego (ang. <i>wild-type transthyretin amyloidosis</i>)
BIC	kryterium informacyjne Bayesa (ang. <i>Bayesian Information Criterion</i>)
BSC	najlepsza terapia podtrzymująca (ang. <i>best supportive care</i>)
CDA	<i>Canada's Drug Agency</i>
CHB	cena hurtowa brutto
CI	przedział ufności (ang. <i>confidence interval</i>)
CUA	analiza kosztów-użyteczności (ang. <i>cost-utility analysis</i>)
CZN	cena zbytu netto
evLY	lata życia o równej wartości (ang. <i>equal value life years</i>)
FDA	<i>U.S. Food and Drug Administration</i>
HAS	<i>Haute Autorité de Santé</i>
hATTR-PN	dziedziczna amyloidoz transtyretynowa z polineuropatią (ang. <i>hereditary transthyretin amyloidosis</i>)
HR	iloraz ryzyka (ang. <i>hazard ratio</i>)
HRQoL	jakość życia uwarunkowana stanem zdrowia (ang. <i>health related quality of life</i>)
HSE	<i>Health Survey for England</i>
HTA	ocena technologii medycznych (ang. <i>health technology assessment</i>)
ICER	<i>Institute for Clinical and Economic Review</i>
ICER	inkrementalny współczynnik kosztów efektywności (ang. <i>incremental cost-effectiveness ratio</i>)
ICUR	inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności (ang. <i>incremental cost-utility ratio</i>)
IPD	dane indywidualnych pacjentów (ang. <i>individual patient-level data</i>)
IPTW	metoda ważenia odwrotnym prawdopodobieństwem otrzymania leczenia (ang. <i>inverse probability of treatment weighting</i>)
ISPOR	<i>International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research</i>
ITT	populacja zgodna z zaplanowanym leczeniem (ang. <i>intention to treat</i>)
KCCQ	kwestionariusz oceny kardiomiopatii Kansas City (ang. <i>Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire</i>)
KCCQ-OSS	Kwestionariusz Kardiomiopatii Kansas City - Ogólny Wynik Podsumowujący (ang. <i>Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire Overall Summary Score</i>)
KM	krzywe Kaplana-Meiera
L2OCF	dwie ostatnio prowadzone obserwacje (ang. <i>Last Two Observed Carried Forward</i>)

LMEM	liniowy model efektów mieszanych (ang. <i>linear mixed-effects model</i>)
LOCF	ostatnio prowadzona obserwacja (ang. <i>Last Observed Carried Forward</i>)
LYG	zyskane lata życia (ang. <i>life-years gained</i>)
MDI	<i>Major Depression Inventory</i>
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	<i>National Institute for Health and Care Excellence</i>
Norfolk QOL-DN	ang. <i>Norfolk Quality of Life-Diabetic Neuropathy</i> (kwestionariusz oceny jakości życia Norfolk w neuropatii cukrzycowej)
NYHA	klasyfikacja Nowojorskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ang. <i>New York Heart Association</i>)
OS	przeżycie całkowite (ang. <i>overall survival</i>)
PBAC	<i>Pharmaceutical Benefits Advisory Committee</i>
PICOS	populacja, interwencja, komparator, efekt zdrowotny, badania (ang. <i>Population, Intervention, Comparison, Outcome, Study</i>)
PL	program lekowy
PSA	probabilistyczna analiza wrażliwości (ang. <i>probabilistic sensitivity analysis</i>)
QALY	lata życia skorygowane o jakość (ang. <i>quality-adjusted life years</i>)
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)
SAE	ciężkie zdarzenie niepożądane (ang. <i>Serious Adverse Event</i>)
SEE	ustrukturyzowane oszacowanie eksperckie (ang. <i>Structured Expert Elicitation</i>)
SMC	<i>Scottish Medicines Consortium</i>
TAF	tafamidis
TLV	<i>The Swedish Dental and Pharmaceutical Benefits Agency</i>
UCZ	urzędowa cena zbytu
WLF	wysokość limitu finansowania
WUT	wutrisyran

Streszczenie

Cel opracowania

Celem niniejszej analizy było określenie ekonomicznej zasadności objęcia leku Amvuttra® (substancja czynna wutrisyran) finansowaniem ze środków publicznych w leczeniu chorych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM), tj. zasadności uwzględniającej koszt stosowania leczenia w zestawieniu z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi. Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o refundację leku w ramach istniejącego programu lekowego (PL) B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Populacja uwzględniona w niniejszej analizie jest zgodna ze schematem PICOS opracowanym na podstawie APD, tj. obejmuje dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (typu dzikiego bądź dziedzicznej) z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I-III.

Ocenianą interwencją jest lek Amvuttra®, natomiast jedynym obecnie refundowanym lekiem dla pacjentów z ATTR-CM w Polsce jest tafamidis. Zgodnie z zapisami Programu Lekowego B.162, tafamidis może być stosowany u pacjentów z klasami czynnościowymi NYHA I i II, w związku z czym został on wybrany jako komparator dla wnioskowanej interwencji w tej grupie pacjentów. Aktualnie pacjenci, którzy nie kwalifikują się do leczenia tafamidisem nie mają żadnej innej opcji leczenia przyczynowego i poddawani są leczeniu objawowemu. W przypadku braku technologii opcjonalnej należy porównać się z naturalnym przebiegiem choroby, oceny dokonano zatem również w porównaniu z placebo, rozumianym jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej. Poniżej przedstawiono podsumowanie wybranych komparatorów:

- tafamidis w przypadku pacjentów w klasach czynnościowych NYHA I-II,
- placebo (rozumiane jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej) w przypadku pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III.

Metodyka

Analizę ekonomiczną przeprowadzono z wykorzystaniem modelu dotyczącego bezpośrednio rozważanego problemu decyzyjnego. Model zaimplementowano w programie Microsoft Office Excel i dostosowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie krajowych danych na temat zużycia zasobów, kosztów jednostkowych, stóp dyskontowych oraz przeżycia w populacji ogólnej. Model umożliwia porównanie efektów i kosztów stosowania leku Amvuttra® w porównaniu z tafamidisem bądź BSC u pacjentów z ATTR-CM, co odpowiada doborowi interwencji i komparatora w niniejszej analizie. Model bazuje przede wszystkim na danych z badania HELIOS-B.

Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) oraz z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (NFZ i pacjent).

Wnioskodawca zaproponował mechanizm dzielenia ryzyka [REDACTED] w związku z czym dla każdego scenariusza zaprezentowano dwa warianty analizy – bez i z uwzględnieniem RSS.

Ze względu na przewlekły charakter choroby oraz średni początkowy wiek w populacji w badaniu HELIOS-B (76 lat) [REDACTED]

Oszacowania kosztów i wyników zdrowotnych przeprowadzono z uwzględnieniem rocznej stopy dyskontowej w wysokości 5% dla kosztów i 3,5% dla efektów zdrowotnych.

Ponieważ ATTR-CM wpływa zarówno na oczekiwaną długość, jak i na jakość życia pacjentów, w modelu przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA, ang. *cost-utility analysis*), tj. wyliczono inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR, ang. *incremental cost-utility ratio*) wyrażający średni koszt uzyskania dodatkowych lat życia skorygowanych o jakość (QALY, ang. *quality-adjusted life years*).

Wyniki

Analizy użyteczności kosztowej przeprowadzono oddzielnie dla dwóch subpopulacji pacjentów (w klasach I-II oraz w klasie III NYHA) z uwzględnieniem właściwych dla tych grup komparatorów.

Analiza podstawowa wykazała, [REDACTED] terapia jednego pacjenta z ATTR-CM w klasie czynnościowej NYHA I lub II z zastosowaniem preparatu Amvuttra® [REDACTED]

W wariantcie bez RSS, w perspektywie płatnika publicznego leczenie preparatem Amvuttra® [REDACTED]

Terapia jednego pacjenta z ATTR-CM w klasie czynnościowej NYHA III [REDACTED]

W wariantcie bez RSS, w perspektywie płatnika publicznego leczenie preparatem Amvuttra® [REDACTED]

Podsumowanie i wnioski

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Amvuttra® jest uzasadnione. W badaniu klinicznym wykazano przewagę wutrisyranu nad technologią obecnie refundowaną w leczeniu ATTR-CM u pacjentów z niewydolnością serca w klasach czynnościowych I-II NYHA. Ponadto, wprowadzenie refundacji wutrisyranu pozwoli na rozszerzenie warunków kwalifikacji do leczenia ATTR-CM i umożliwi dostęp do terapii pacjentom z niewydolnością serca w klasie czynnościowej III NYHA, którzy do tej pory otrzymywali wyłącznie leczenie objawowe. Zapewnienie pacjentom skutecznego leczenia celowanego umożliwi zarówno wydłużenie życia, jak i poprawę jego jakości.

1 Wprowadzenie

1.1 Cel analizy

Celem niniejszej analizy było określenie ekonomicznej zasadności objęcia leku Amvuttra® (wutrisyran) finansowaniem ze środków publicznych w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (typu dzikiego bądź dziedzicznej) z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I-III, tj. zasadności uwzględniającej koszt stosowania leczenia w zestawieniu z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi.

1.2 Komparatory

Wybór komparatora oparto na założeniach przedstawionych w dokumencie analizy problemu decyzyjnego [APD Amvuttra]. Obecnie jedynym refundowanym lekiem dla pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM, ang. *transthyretin amyloidosis cardiomyopathy*) w Polsce jest tafamidis. Zgodnie z zapisami w Programie Lekowym B.162. „Leczenie kardiomiopatii w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85)”, tafamidis może być stosowany u dorosłych pacjentów z ATTR-CM (typu dzikiego albo dziedziczna), z klasą czynnościową wg klasyfikacji Nowojorskiego Towarzystwa Kardiologicznego (NYHA, ang. *New York Heart Association*) I-II [MZ 2025]. W związku z powyższym, tafamidis został wybrany jako komparator dla wnioskowanej interwencji w przypadku pacjentów w klasach NYHA I-II.

W chwili obecnej nie ma w Polsce innych refundowanych leków o udowodnionej skuteczności w leczeniu przyczynowym ATTR-CM. Pacjenci, którzy nie kwalifikują się do leczenia tafamidisem nie mają żadnej innej opcji leczenia przyczynowego i poddawani są leczeniu objawowemu. Biorąc pod uwagę Rozporządzenie Ministra Zdrowia z 2023 r. [Rozporządzenie MZ 2023], które mówi, że w przypadku braku technologii opcjonalnej należy porównać się z naturalnym przebiegiem choroby, oceny dokonano również w porównaniu do najlepszej terapii podtrzymującej (BSC, ang. *best supportive care*), która w badaniu klinicznym HELIOS-B dla wutrisyranu była reprezentowana przez placebo. W związku z przedstawionymi wyżej argumentami jako komparatory dla wnioskowanej interwencji wybrano:

- tafamidis w przypadku pacjentów w klasach czynnościowych NYHA I-II,
- placebo (rozumiane jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej) w przypadku pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III, (placebo rozumiane jako BSC, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej).

1.3 Populacja

Populacja uwzględniona w niniejszej analizie jest zgodna ze schematem PICOS opracowanym na podstawie APD, tj. obejmuje dorosłych pacjentów z ATTR-CM (typu dzikiego albo dziedziczna) z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I-III.

1.4 Typ analizy ekonomicznej

Analizę ekonomiczną przeprowadzono z wykorzystaniem modelu dotyczącego bezpośrednio rozważanego problemu decyzyjnego. Model zaimplementowano w programie Microsoft Office Excel i dostosowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych na temat zużycia zasobów, kosztów jednostkowych oraz stóp dyskontowych. Dokładny opis wprowadzonych danych przedstawiono w dalszych rozdziałach.

Jak wykazano w analizie klinicznej dołączonej do wniosku, wutrisyran wykazuje przewagę nad przyjętymi w niniejszej analizie komparatorami w zakresie punktów końcowych związanych ze skutecznością kliniczną [AKL Amvuttra]. Ponieważ leczenie ATTR-CM wpływa zarówno na naturalny przebieg choroby i jej progresję, jak i na jakość życia pacjentów, w modelu przeprowadzono analizę kosztów-użyteczności (CUA, ang. *cost-utility analysis*), przy czym inkrementalny współczynnik kosztów-użyteczności (ICUR, ang. *incremental cost-utility ratio*) wyrażono jako koszty inkrementalne lat życia skorygowanych o jakość (QALY).

1.5 Perspektywa

Analizę, zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2023] oraz wytycznymi AOTMiT [AOTMiT 2016], przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) oraz z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (NFZ i pacjent). Z uwagi na różne progi odpłatności dla leków uwzględnionych w BSC, perspektywy te nie są tożsame.

Oryginalnie w modelu nie uwzględniono możliwości wyboru perspektywy wspólnej, dlatego opcja ta została dodana podczas jego adaptacji do warunków polskich. W celu uwzględnienia perspektywy wspólnej w modelu należy wybrać odpowiednią opcję w zakładce „Cost Inputs” w części zatytułowanej „Background HF medication”.

1.6 Horyzont czasowy i dyskontowanie

W analizie przyjęto horyzont

Jest to podejście zgodnie z wytycznymi oceny technologii medycznych [AOTMiT 2016], zgodnie z którymi w przypadku technologii medycznych, których wyniki ujawniają się w ciągu całego życia chorego, horyzont czasowy powinien obejmować okres do momentu zgonu pacjenta.

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań [Rozporządzenie MZ 2023], jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu, jeżeli horyzont czasowy dla analizy ekonomicznej przekracza rok, oszacowania kosztów i wyników zdrowotnych, powinny zostać przeprowadzone z uwzględnieniem rocznej stopy dyskontowej w wysokości 5% dla kosztów i 3,5% dla efektów zdrowotnych. Sytuację, w której nie występuje dyskontowanie kosztów i wyników zdrowotnych, przedstawiono w ramach scenariuszowej analizy wrażliwości (rozdział 2.15.1).

1.7 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy dotyczy jednej prezentacji produktu leczniczego Amvuttra®:

- 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce.

Obecnie lek objęty wnioskiem jest finansowany w ramach programu lekowego B.170 „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”. Niniejszy wniosek zakłada refundację leku Amvuttra® we wskazaniu, w którym lek nie był dotychczas finansowany, w ramach istniejącego programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Poniższe tabele przedstawiają wnioskowane ceny leku Amvuttra® w obu wariantach.

Tab. 1. Wnioskowana cena leku Amvuttra® bez RSS.

Zawartość opakowania	[1] CZN, PLN	[2] CH, PLN	[3] CHB, PLN	[4] WLF, PLN
Bez RSS				
Amvuttra®, 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampstrz.				

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

Objaśnienia wyliczeń:

[2] = [1] + marża hurtowa^a (6% * [1]),

[3] = [2] + VAT (8% z [2]),

[4] – na podstawie ceny podstawy limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; CZN – cena zbytu netto; CH – cena hurtowa; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka; WLF – wysokość limitu finansowania.

^a W przypadku leków i środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanych w ramach programów lekowych, wysokość marży hurtowej nie może być wyższa niż 2000 zł.

Tab. 2. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.

Zawartość opakowania	CHB, PLN	WLF, PLN
Z RSS		
Amvuttra®, 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampstrz.		

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka; WLF – wysokość limitu finansowania.

Tab. 3. Wyliczenie ceny efektywnej leku Amvuttra® w wariancie z RSS.

Parametr	Wartość
Z RSS	
CHB za opakowanie leku Amvuttra®, 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampstrz., PLN	
Zwrot kosztu za opakowanie w mechanizmie pay-back, PLN	
Cena efektywna leku	

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.

W pliku Excel dołączonym do niniejszej analizy istnieje możliwość wyboru jednego z dwóch wariantów ceny leku – bez lub z uwzględnieniem mechanizmu dzielenia ryzyka (arkusz „Cost Inputs”).

1.8 Ustalenie ceny progowej

Zgodnie z wymaganiami minimalnymi wyznaczono tzw. cenę progową, będącą ceną zbytu netto wnioskowanej technologii, przy której koszt uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, wynikający z wprowadzenia do praktyki klinicznej wnioskowanej technologii, jest równy wysokości progu (244 821 PLN/QALY) [AOTMiT 2025].

Cenę progową wyznaczono dla scenariusza podstawowego i scenariuszy rozważanych w ramach analizy wrażliwości. Cenę progową wyznaczono jako maksymalną cenę zbytu netto, przy której oszacowany ICUR nie przekracza progu opłacalności.

Należy podkreślić, że oszacowane ceny progowe są cenami efektywnymi,

2 Metodyka analizy

2.1 Ogólna charakterystyka modelu

W niniejszej analizie wykorzystano model dostarczony przez Wnioskodawcę. Model zaimplementowano w programie Microsoft Office Excel i dostosowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych na temat zużycia zasobów, kosztów jednostkowych, dyskontowania oraz przeżycia w populacji ogólnej.

W celu oceny efektywności kosztowej wutrisyranu w leczeniu ATTR-CM opracowano kohortowy model Markowa. Model odwzorowuje naturalny przebieg choroby, śledząc przechodzenie kohorty pacjentów przez kolejne etapy zaawansowania choroby, określone na podstawie klasyfikacji niewydolności serca wg NYHA. Klasyfikacja NYHA to powszechnie stosowany system oceny stopnia zaawansowania niewydolności serca, w tym również tej spowodowanej ATTR-CM.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W modelu uwzględniono następujące kategorie kosztów: koszt leków i ich podania, leczenie objawowe, zdarzenia przejściowe (hospitalizacja z przyczyn sercowo-naczyniowych, pilne wizyty z powodu niewydolności serca), diagnostyka i monitorowanie choroby, koszt leczenia ciężkich zdarzeń niepożądanych (SAE, ang. *serious adverse event*) oraz opiekę terminalną.

Wartości użyteczności zostały przypisane w zależności od stopnia zaawansowania choroby, w celu odzwierciedlenia wpływu wyników zdrowotnych na jakość życia pacjentów.

Wyniki przedstawione w modelu to koszty całkowite (sumaryczne i podzielone na kategorie kosztów) i lata życia skorygowane o jakość (QALY, ang. *quality-adjusted life years*), na podstawie których obliczany jest inkrementalny współczynnik użyteczności kosztów (ICUR, ang. *incremental cost-utility ratio*).

[REDACTED]

2.1.1 Populacja docelowa w modelu

Populacja docelowa w modelu obejmuje dorosłych pacjentów z ATTR-CM (typu dzikiego albo dziedziczna)

[REDACTED]

2.1.2 Komparatory w modelu

W modelu głównymi porównywanymi interwencjami są tafamidis oraz placebo, reprezentowane przez BSC. W niniejszej analizie pacjenci otrzymujący wutrisyran lub tafamidis są również leczeni objawowo w ramach niewydolności serca, zgodnie z praktyką kliniczną stosowaną w rzeczywistych warunkach. Dzięki uwzględnieniu leczenia objawowego jako terapii towarzyszącej, model wiernie odzwierciedla kompleksową opiekę, jaką zazwyczaj otrzymują pacjenci z ATTR-CM.

2.1.4 Korekta i długość cyklu

[REDACTED]

2.1.5 Struktura modelu

W celu oceny efektywności kosztowej wutrisyranu w leczeniu ATTR-CM opracowano kohortowy model Markowa, zaimplementowany w programie Microsoft Excel. [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]

2.1.5.2 Schemat struktury modelu i analiza kohortowa

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



[REDACTED]

[REDACTED]

2.2 Parametry wejściowe modelu

2.2.1 Przegląd istotnych parametrów klinicznych i zmiennych

[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]

2.3 Charakterystyka początkowa pacjentów

[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]

2.4 Prawdopodobieństwa przejść w modelu

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[illegible]

[illegible]

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

[illegible]

[REDACTED]

² Dotyczy ekspertów, którzy brali udział w konsultacjach przy tworzeniu modelu globalnego, dostarczonego przez Wnioskodawcę.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

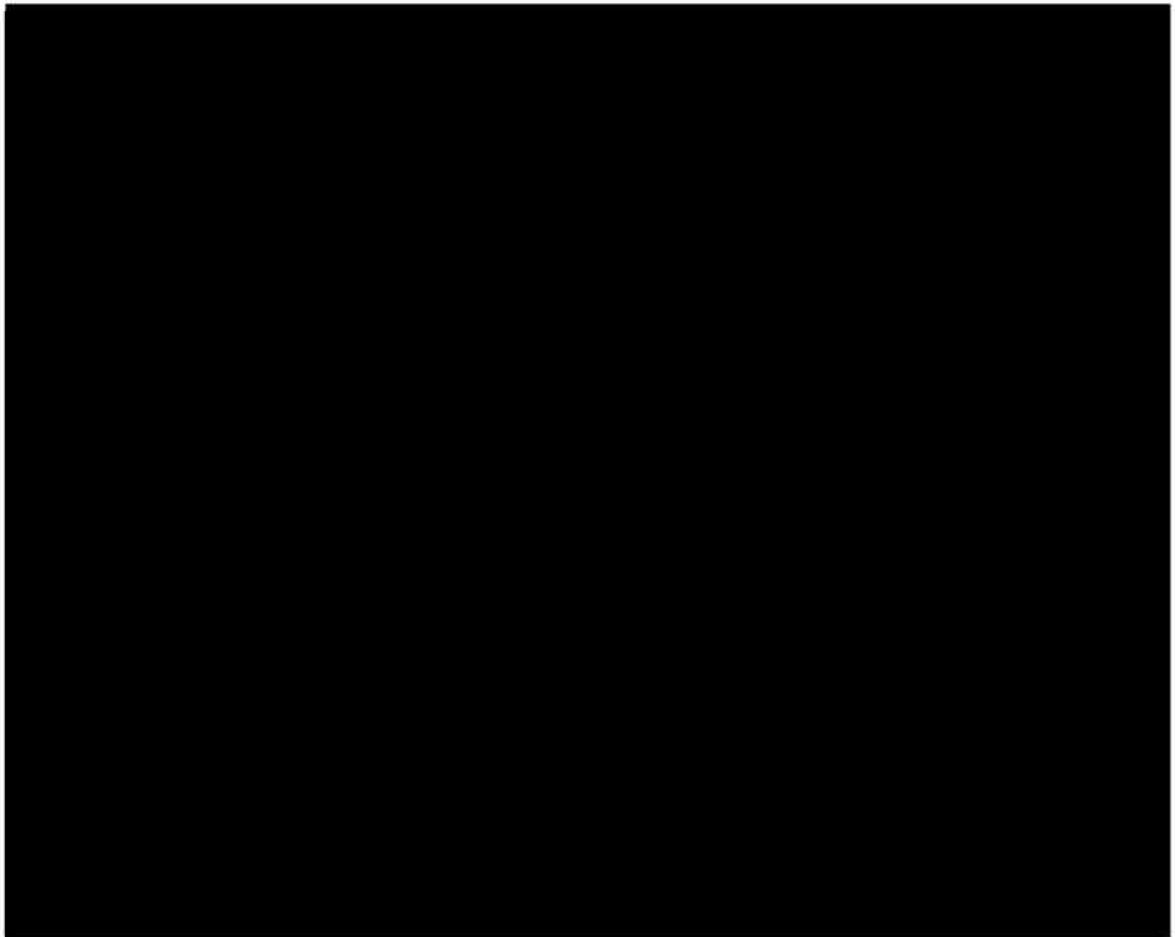
[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



[Redacted text]

[Redacted text]

[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 text]

[Redacted text]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

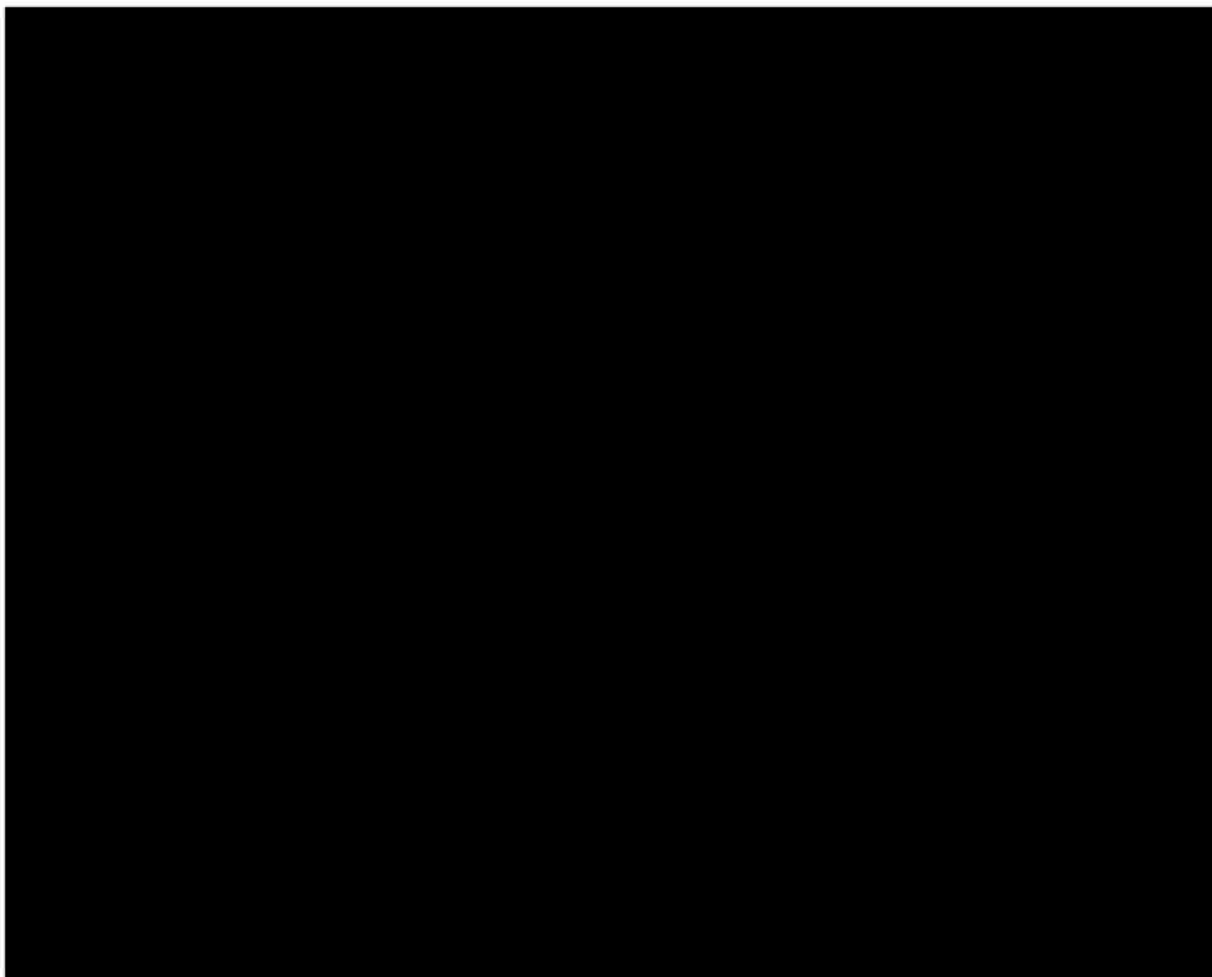
[REDACTED]	[REDACTED]						
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



Rys. 23. Dopasowanie funkcji parametrycznych do danych dotyczących przerwania leczenia z powodów innych niż zgon w ramieniu wutrisyranu w skojarzeniu z tafamidisem w badaniu HELIOS-B.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

--	--	--	--

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]

[illegible]

2.13 Koszty

W celu oszacowania pełnych kosztów związanych z terapią lekiem Amvuttra®, konieczne było oszacowanie bezpośredniego zużycia zasobów i poniesionych kosztów opieki zdrowotnej oraz kosztów związanych z poprawą jakości życia pacjenta. W analizie uwzględniono następujące koszty:

- koszt interwencji
- koszt podania substancji w ramach programu lekowego,
- koszt komparatorów:
 - tafamidisu
 - BSC
- koszt zdarzeń niepożądanych
- koszt diagnostyki i monitorowania pacjenta w ramach programu lekowego,
- koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby poza programem lekowym,
- koszt opieki terminalnej (*end-of-life*, EOL).

2.13.1 Koszt substancji

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy dotyczy jednej prezentacji produktu leczniczego Amvuttra®:

- 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce.

Obecnie lek objęty wnioskiem jest finansowany w ramach programu lekowego B.170 „Leczenie dorosłych pacjentów z polineuropatią w I lub II stadium zaawansowania w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ICD-10: E85.1)”. Niniejszy wniosek zakłada refundację leku Amvuttra® we wskazaniu, w którym lek nie był dotychczas finansowany, w

ramach istniejącego programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Poniższe tabele przedstawiają wnioskowane ceny leku Amvuttra® w obu wariantach.

Tab. 40. Wnioskowana cena leku Amvuttra® w wariantach bez RSS.

Zawartość opakowania	[1] CZN, PLN	[2] CH, PLN	[3] CHB, PLN	[4] WLF, PLN
Bez RSS				
Amvuttra®, 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampstrz.				

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

Objaśnienia wyliczeń:

[2] = [1] + marża hurtowa^a (6% * [1]),

[3] = [2] + VAT (8% z [2]),

[4] – na podstawie ceny podstawy limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; CZN – cena zbytu netto; CH – cena hurtowa; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka; WLF – wysokość limitu finansowania.

^a W przypadku leków i środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanych w ramach programów lekowych, wysokość marży hurtowej nie może być wyższa niż 2000 zł.

Tab. 41

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.

2.13.2 Koszt podania leku w ramach programu lekowego

W analizie przyjęto, że pacjenci leczeni preparatem Amvuttra® otrzymują pierwszą dawkę leku w ramach porady ambulatoryjnej, która rozliczana jest w ramach procedury „przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu” (5.08.07.0000004). Koszt związany z podaniem leku wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe [17/2026/DGL]. Zastosowano mnożnik wartości punktu równy [REDACTED], bazując na Raplocie w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem

najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 2139) [WT.543.4.2025].

Tab. 42. Koszty podania pierwszej dawki leku.

Nazwa świadczenia	Kod świadczenia	Wartość punktowa, pkt	Wycena punktowa, PLN	Koszt świadczenia, PLN
przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu	5.08.07.00000 04			

pkt – liczba punktów; PLN – polski złoty.

2.13.3 Koszty komparatorów

Komparatorami przyjętymi w niniejszej analizie są:

- tafamidis w dawkowaniu zgodnym z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) w przypadku pacjentów w klasach czynnościowych NYHA I-II,

oraz

- placebo, rozumiane jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej, w przypadku pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III.

W poniższych podrozdziałach przedstawiono koszty tafamidisu oraz koszty BSC, odpowiadające przyjętej w analizie definicji placebo.

2.13.3.1 Koszt tafamidisu

Tafamidis jest aktualnie finansowany ze środków publicznych w ramach programu lekowego B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Tab. 43. Koszt tafamidisu.

Zawartość opakowania	Liczba sprzedanych opakowań	Kwota refundacji, PLN	Cena efektywna za opakowanie leku, PLN

2.13.3.2 Koszt BSC

W modelu analizy ekonomicznej koszt BSC przyjęto jako koszt poszczególnych grup leków stosowanych w terapii podtrzymującej w niewydolności serca, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Koszt BSC oszacowano w oparciu o 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. [Obwieszczenie 2026] W poniższej tabeli przedstawiono podsumowanie kosztów BSC przyjętych w niniejszej analizie. Szczegóły dotyczące przeprowadzonych obliczeń znajdują się w dołączonym do analizy arkuszu Excel.

[illegible]

Tab. 46 Koszt leczenia zapalenia płuc

Kod JGP	Nazwa JGP	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji, PLN
D48	ZAPALENIE PŁUC BEZ PW	■	■

2.13.4.3 Ostre uszkodzenie nerek

Koszty ostrego uszkodzenia nerek oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenie JGP „L82 – ostra niewydolność nerek”, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy „L – Choroby układu moczowo-płciowego”. [Statystyki NFZ]

Tab. 47 Koszt leczenia ostrego uszkodzenia nerek

Kod JGP	Nazwa JGP	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji, PLN
L82	OSTRA NIEWYDOLNOŚĆ NEREK	■	■

2.13.4.4 Omdlenie

Koszty omdlenia oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenie JGP „E71 – omdlenie i zapaść”, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy „E – Choroby serca”. [Statystyki NFZ]

Tab. 48 Koszt leczenia omdlenia

Kod JGP	Nazwa JGP	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji, PLN
E71	OMDLENIE I ZAPAŚĆ	■	■

2.13.4.5 Ból w klatce piersiowej

Koszty bólu w klatce piersiowej oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenie JGP „E71 – omdlenie i zapaść”, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy „E – Choroby serca”. [Statystyki NFZ]

Tab. 49 Koszt leczenia bólu w klatce piersiowej

Kod JGP	Nazwa JGP	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji, PLN
E72	NIEINWAZYJNA DIAGNOSTYKA BÓLU W KLATCE PIERSIOWEJ >17 R.Ż.	■	■

2.13.4.6 Zatrzymanie moczu

Jako koszt zatrzymania moczu przyjęto koszt przeprowadzenia cewnikowania, które rozliczane jest w ramach procedury „wprowadzenie na stałe cewnika do pęcherza moczowego” (5.31.00.0000102) należącej do grupy świadczeń zabiegowych Z102. Koszt związany z przeprowadzeniem procedury wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna [103/2025/DSOZ], [REDAKTOWANE]. Mnożnik wartości punktu wyznaczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok, przy czym przyjęto, że cewnikowanie rozliczane jest w ramach świadczeń w zakresie urologii [Informator o umowach]. Podsumowanie informacji dotyczących kosztu cewnikowania zamieszczono w poniższej tabeli.

Tab. 50. Koszt cewnikowania.

Nazwa procedury	Kod procedury	Wartość punktowa, pkt	Wycena punktowa, PLN	Koszt świadczenia, PLN
wprowadzenie na stałe cewnika do pęcherza moczowego	5.31.00.0000102	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

pkt – liczba punktów; PLN – polski złoty.

2.13.4.7 Hiponatremia

Tak jak miało to miejsce np. w analizie ekonomicznej dla kabozantynibu we wskazaniu obejmującym terapię skojarzoną składającą się z kabozantynibu i niwolumabu w leczeniu raka nerkowokomórkowego, koszt leczenia hiponatremii przyjęto jako zerowy. Założenie wynika z faktu, że hiponatremia najczęściej nie wymaga specyficznego leczenia, a koszty ponoszone na jej leczenie zawierają się w kosztach monitorowania leczenia (m.in regularne wykonywanie morfologii krwi zostało uwzględnione w kosztach monitorowania leczenia w programie lekowym B.162.).

2.13.4.8 Arytmie serca

Ze względu na liczne świadczenia wykonywane w przypadku arytmii serca, w celu oszacowania kosztów poszczególnych rodzajów arytmii zdecydowano się na wyodrębnienie procedur według kodów ICD-10 przypisanych poszczególnym stanom chorobowym.

2.13.4.8.1 Migotanie i trzepotanie przedsionków

W modelu ekonomicznym dostarczonym przez Wnioskodawcę migotanie przedsionków i trzepotanie przedsionków zostały uwzględnione jako oddzielne zdarzenia. Ze względu na wspólny kod ICD-10 dla tych dwóch zdarzeń, zdecydowano się jednak przyjąć, że koszt ich leczenia będzie jednakowy. Koszty leczenia migotania i trzepotania przedsionków oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenia, którym przypisano kod ICD-10: I48, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy JGP „E – Choroby serca”.

Średnią wartość hospitalizacji obliczono jako średnią ważoną odsetkami danych przyczyn hospitalizacji. [Statystyki NFZ]

Tab. 51 Koszt leczenia migotania i trzepotania przedsionków

Kod JGP	Nazwa JGP	Kod ICD-10	Nazwa ICD-10	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji
E02	INNE ZABIEGI KARDIOCHIRURGICZNE > 17 R.Ż.	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E21	PRZEZSKÓRNE ZAMKNIĘCIE NIEPRAWIDŁOWYCH POŁĄCZEŃ WEWNĄTRZSERCOWYCH I ZEWNĄTRZSERCOWYCH > 17 R.Ż. *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E27	KORONAROGRAFIA I INNE ZABIEGI INWAZYJNE *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E31	WSZCZEPIENIE/ WYMIANA ROZRUSZNIKA JEDNOJAMOWEGO *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E32	WSZCZEPIENIE/ WYMIANA ROZRUSZNIKA DWUJAMOWEGO *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E34	WSZCZEPIENIE/ WYMIANA KARDIOWERTERA-DEFIBRYLATORA JEDNO-/ DWUJAMOWEGO *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E37	REPERACJA/ REPOZYCJA/ REWIZJA/ WYMIANA ELEKTRODY/ UKŁADU STYMULUJĄCEGO/ KARDIOWERTERA-DEFIBRYLATORA *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E43	ABLACJA ZABURZEŃ RYTMU *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E44	DIAGNOSTYKA INWAZYJNA ZABURZEŃ RYTMU SERCA *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■
E47	ABLACJA (ZŁOŻONA) ZABURZEŃ RYTMU Z WYKORZYSTANIEM SYSTEMU ELEKTROANATOMICZNEGO 3D *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■	■

E48	ABLACJA MIGOTANIA PRZEDSIONKÓW - IZOLACJA ŻYŁ PŁUCNYCH *	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E56	CHOROBA NIEDOKRWIENNA SERCA > 69 R.Ż. LUB Z PW	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E61	ZABURZENIA RYTMU SERCA > 69 R.Ż. LUB Z PW	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E62	ZABURZENIA RYTMU SERCA > 17 R.Ż. < 70 R.Ż. BEZ PW	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E86	NADCIŚNIENIE TĘTNICZE OPORNE I WTÓRNE	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E87	CIĘŻKIE NADCIŚNIENIE TĘTNICZE > 17 R.Ż.	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
E89	KOMPLEKSOWA DIAGNOSTYKA KARDIOLOGICZNA	I48	Migotanie i trzepotanie przedsionków	■■■■	■■■■
Średnia ważona liczbą hospitalizacji					■■■■

2.13.4.8.2 Częstoskurcz komorowy

Koszty leczenia częstoskurczu komorowego oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenia, którym przypisano kod ICD-10: I47.2, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy JGP „E – Choroby serca”. Średnią wartość hospitalizacji obliczono jako średnią ważoną odsetkami danych przyczyn hospitalizacji. [Statystyki NFZ]

Tab. 52 Koszt leczenia częstoskurczu komorowego

Kod JGP	Nazwa JGP	Kod ICD-10	Nazwa ID-10	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji
E34	WSZCZEPIENIE/ WYMIANA KARDIOWERTERA-DEFIBRYLATORA JEDNO-/DWUJAMOWEGO *	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■■■■	■■■■
E34G	WSZCZEPIENIE LUB WYMIANA CAŁKOWICIE PODSKÓRNEGO	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■■■■	■■■■

	KARDIOWERTERA-DEFIBRYLATORA *				
E36	WSZCZEPIENIE/ WYMIANA CRT-D > 17 R.Ż. *	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E37G	WYMIANA ELEKTROD DO CAŁKOWITEGO AUTOMATYCZNEGO SYSTEMU DO KARDIOWERSJI LUB DEFIBRYLACJI [ICD])-JEDNOJAMOWEGO LUB DWUJAMOWEGO	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E43	ABLACJA ZABURZEŃ RYTMU *	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E44	DIAGNOSTYKA INWAZYJNA ZABURZEŃ RYTMU SERCA *	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E47	ABLACJA (ZŁOŻONA) ZABURZEŃ RYTMU Z WYKORZYSTANIEM SYSTEMU ELEKTROANATOMICZNEGO 3D *	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E61	ZABURZENIA RYTMU SERCA > 69 R.Ż. LUB Z PW	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
E62	ZABURZENIA RYTMU SERCA > 17 R.Ż. < 70 R.Ż. BEZ PW	I47.2	Częstoskurcz komorowy	■	■
Średnia ważona liczbą hospitalizacji					■

2.13.5 Koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby

2.13.5.1 Diagnostyka i monitorowanie w ramach programu lekowego

Zgodnie z zapisami Zarządzenia nr 9/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 stycznia 2025 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego, diagnostyka i monitorowanie pacjentów w ramach programu lekowego może być rozliczane za pomocą ryczałtu. Według definicji zawartej we wspomnianym Zarządzeniu, ryczałt za diagnostykę to „produkt rozliczeniowy, w ramach którego finansowany jest uśredniony koszt badań diagnostycznych wymaganych przy kwalifikacji i w trakcie realizacji programu lekowego, wykonywanych u świadczeniobiorcy objętego tym programem w danym roku kalendarzowym, z wyłączeniem badań genetycznych wykonywanych w trakcie kwalifikacji do programu lekowego”.

W niniejszej analizie wnioskowane jest włączenie wutrisyranu jako opcji terapeutycznej dla pacjentów z kardiomiopatią w ramach istniejącego programu lekowego B.162. Przyjęto zatem, że koszt diagnostyki i monitorowania będzie identyczny dla pacjentów leczonych wutrisyranem i tafamidisem, który jest obecnie lekiem finansowanym w ramach programu. Podobnie jak w przypadku kosztów podania leku, zastosowano mnożnik wartości punktu równy [REDACTED], opierając się na Raporcie w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 2139) [WT.543.4.2025]. Koszty diagnostyki i monitorowania przedstawiono w Tab. 53.

Tab. 53. Koszt diagnostyki i monitorowania w programie lekowym B.162.

Lp.	Kod zakresu	Kod świadczenia	Nazwa świadczenia	Ryczałt roczny, punkty	Koszt roczny, PLN
230	03.0000.462.02	5.08.08.0000262	Diagnostyka w programie leczenia pacjentów z kardiomiopatią (tafamidis) - 1 rok terapii	[REDACTED]	[REDACTED]
231	03.0000.462.02	5.08.08.0000263	Diagnostyka w programie leczenia pacjentów z kardiomiopatią (tafamidis) - 2 i kolejny rok terapii	[REDACTED]	[REDACTED]

*Obliczono z wykorzystaniem mnożnika równego 1,77.

PLN – polski złoty

2.13.5.2 Badania diagnostyczne i monitorowanie przebiegu choroby poza programem lekowym

Niniejsza analiza obejmuje zarówno pacjentów w klasach I i II NYHA, którzy mają aktualnie możliwość otrzymania leczenia w ramach programu lekowego B.162, jak i pacjentów w klasie III NYHA, nieobjętych obecnie tym programem. Z tego względu w modelu uwzględniono również koszty badań diagnostycznych i monitorowania choroby poza programem lekowym. Koszty przedstawiono w poniższych podrozdziałach.

2.13.5.2.1 Echokardiografia

Echokardiografia wchodzi w skład grupy badań „W10 Badania dodatkowe - grupa 9” i rozliczana jest w ramach grupy świadczeń „W17 Świadczenie specjalistyczne 7-go typu” (5.30.00.0000017). Koszt związany ze świadczeniem W17 wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna [103/2025/DSOZ], zgodnie z którym wartość punktowa świadczenia wynosi 104 punkty. Mnożnik wartości punktu wyznaczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok przy czym przyjęto, że konsultacja odbywa się w ramach świadczeń w zakresie

kardiologii [Informator o umowach]. Informacje dotyczące kosztu echokardiografii zaprezentowano w Tab. 54.

Tab. 54. Koszt echokardiografii.

Procedura	Grupa badań	Nazwa grupy świadczeń specjalistycznych (Kod świadczenia)	Wartość punktowa	Koszt*
Echokardiografia	W10 Badania dodatkowe - grupa 9	W17 Świadczenie specjalistyczne 7-go typu (5.30.00.0000017)	■	■

* ■

2.13.5.2.2 Konsultacja specjalistyczna w zakresie kardiologii

Konsultacja specjalistyczna rozliczana jest w ramach grupy świadczeń „W11 Świadczenie specjalistyczne 1-go typu” (5.30.00.0000011). Koszt związany ze świadczeniem W11 wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna [103/2025/DSOZ], ■. Mnożnik wartości punktu wyznaczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok, przy czym przyjęto, że konsultacja odbywa się w ramach świadczeń w zakresie kardiologii [Informator o umowach]. Informacje dotyczące kosztu konsultacji specjalistycznej zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 55. Koszt konsultacji specjalistycznej w zakresie kardiologii.

Nazwa produktu rozliczeniowego	Kod produktu rozliczeniowego	Wartość punktowa, pkt	Wycena punktowa, PLN	Koszt świadczenia, PLN
W11 Świadczenie specjalistyczne 1-go typu	5.30.00.0000011	■	■	■

pkt – liczba punktów; PLN – polski złoty.

2.13.5.2.3 Wizyta domowa pielęgniarki

Wizyta domowa pielęgniarki rozliczana jest w ramach świadczenia „Kompleksowa Opieka Pielęgniarska (KOP) porada pielęgniarki realizowana w domu świadczeniobiorcy”. Koszt związany z realizacją świadczenia wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie warunków zawarcia i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju podstawowa opieka zdrowotna [22/2025/DSOZ]. Informacje dotyczące kosztu konsultacji specjalistycznej zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 56. Koszt wizyty pielęgniarki.

Nazwa produktu rozliczeniowego	Koszt świadczenia, PLN
Kompleksowa Opieka Pielęgniarska (KOP) porada pielęgniarki realizowana w domu świadczeniobiorcy	

PLN – polski złoty.

2.13.5.2.4 Konsultacja specjalistyczna w zakresie neurologii

Konsultacja specjalistyczna rozliczana jest w ramach grupy świadczeń „W11 Świadczenie specjalistyczne 1-go typu” (5.30.00.0000011). Koszt związany ze świadczeniem W11 wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna [103/2025/DSOZ], [REDACTED]. Mnożnik wartości punktu wyznaczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok, przy czym przyjęto, że konsultacja odbywa się w ramach świadczeń w zakresie neurologii [Informator o umowach]. Informacje dotyczące kosztu konsultacji specjalistycznej zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 57. Koszt konsultacji specjalistycznej w zakresie neurologii.

Nazwa produktu rozliczeniowego	Kod produktu rozliczeniowego	Wartość punktowa, pkt	Wycena punktowa, PLN	Koszt świadczenia, PLN
W11 Świadczenie specjalistyczne 1-go typu	5.30.00.0000011			

pkt – liczba punktów; PLN – polski złoty.

2.13.5.2.5 Konsultacja lekarza POZ

Ze względu na sposób finansowania porad lekarskich udzielanych przez lekarza POZ (stawka kapitacyjna, której wysokość nie zależy od liczby udzielonych porad lekarskich), przyjęto, że koszt wizyt lekarskich w ramach POZ wynosi [REDACTED]. Tym samym liczba udzielonych porad w tym zakresie świadczeń zdrowotnych nie wpływa na wysokość oszacowanych kosztów leczenia ATTR-CM oraz wysokość inkrementalnego współczynnika kosztów-efektów. Informacje dotyczące kosztu konsultacji zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 58. Koszt konsultacji lekarza POZ.

Nazwa świadczenia	Jednostka rozliczeniowa	Wartość jednostki rozliczeniowej, PLN
Świadczenia lekarza poz	Rozliczane stawką kapitacyjną (zgodnie z Zarządzeniem 22/2025/DSOZ)	

2.13.5.2.6 Badania laboratoryjne

Uwzględnione w modelu ekonomicznym badania laboratoryjne wykonywane w przebiegu kwalifikacji pacjenta do terapii lekiem Amvuttra® obejmują:

- Badanie krwi - Hematokryt
- Badanie krwi - Czynność nerek
- Badanie krwi - Czynność wątroby
- Badania krwi - NT-proBNP

W celu oszacowania kosztów wyżej wymienionych badań przyjęto, że ich wykonanie będzie wymagało przeprowadzenia następujących procedur:

- Morfologia krwi 8-parametrowa
- Badanie poziomu aminotransferazy alaninowej (ALT, GPT)
- Badanie poziomu aminotransferazy asparaginianowej (AST)
- Badanie poziomu kreatyniny
- Badanie poziomu bilirubiny całkowitej
- Badanie poziomu mocznika
- Badanie poziomu albuminy
- Badanie poziomu białka całkowitego
- Badanie poziomu NT-proBNP
- Badanie ogólne moczu

W Tab. 59 przedstawiono uwzględnione świadczenia i ich koszt poniesiony przez NFZ określony na podstawie Załącznika Nr 7 do zarządzenia Nr 103/2025/DSOZ. Zastosowano mnożnik wartości punktu równy [REDACTED], opierając się na Raporcie w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 2139) [WT.543.4.2025].

Tab. 59. Koszt badań diagnostycznych wykonywanych w ramach kwalifikacji pacjentów do PL.

Procedura	Grupa badań	Nazwa grupy świadczeń specjalistycznych (Kod świadczenia)	Wartość punktowa	Koszt*, PLN
Morfologia krwi 8-parametrowa	W1 Lista podstawowa	W12 Świadczenie specjalistyczne 2-go typu (5.30.00.0000012)	[REDACTED]	[REDACTED]
Aminotransferaza alaninowa (ALT, GPT)				
Aminotransferaza asparaginianowa (AST)				
Kreatynina				
Bilirubina całkowita				
Mocznik				

Procedura	Grupa badań	Nazwa grupy świadczeń specjalistycznych (Kod świadczenia)	Wartość punktowa	Koszt*, PLN
Albumina				
Białko całkowite				
NT-proBNP				
Badanie ogólne moczu				

PLN – polski złoty

2.13.6 Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych

2.13.6.1 Koszt hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych

Koszty hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenia dotyczące hospitalizacji z powodu niewydolności krążenia, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy JGP „E – Choroby serca”. Średnią wartość hospitalizacji obliczono jako średnią ważoną odsetkami danych przyczyn hospitalizacji.

Tab. 60 Koszt hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych

Kod JGP	Nazwa JGP	Liczba hospitalizacji	Średnia wartość hospitalizacji, PLN
E53G	NIEWYDOLNOŚĆ KRĄŻENIA		
E52	ZAAWANSOWANA NIEWYDOLNOŚĆ KRĄŻENIA		
Średnia ważona liczbą hospitalizacji			

2.13.6.2 Koszt nagłej niewydolności serca

W modelu ekonomicznym, dostarczonym przez Wnioskodawcę, koszt nagłej niewydolności serca określono jako koszt pilnej, nieplanowanej wizyty w gabinecie lekarskim lub na oddziale ratunkowym, związanej z pierwotną diagnozą niewydolności serca. Zgodnie z założeniami modelu przyjęto, że wizyta z powodu nagłej niewydolności serca nie jest powiązana z hospitalizacją.

Koszty nagłej niewydolności serca oszacowano w oparciu o Statystyki NFZ. Pod uwagę wzięto świadczenie JGP „E89 – Kompleksowa diagnostyka kardiologiczna”, które w 2024 roku rozliczono w ramach grupy „E – Choroby serca”.

Tab. 61 Koszt nagłej niewydolności serca

Kod JGP	Nazwa JGP	Średnia wartość świadczenia, PLN
E89	KOMPLEKSOWA DIAGNOSTYKA KARDIOLOGICZNA	

2.13.6.3 Koszt przeszczepienia serca

Koszt transplantacji serca rozliczany jest w ramach zakresu świadczeń „Przeszczepienie/wspomaganie serca” (03.4656.033.02). W analizie przyjęto, że transplantacji serca odpowiada produkt rozliczeniowy „wariant 1 - przeszczepienie serca” (5.54.01.0000006). Koszt związany z wykonaniem świadczenia wyznaczono na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne [101/2025/DSOZ], [REDACTED]. Mnożnik wartości punktu wyznaczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok, przy czym przyjęto, że przeszczepienie serca odbywa się w ramach świadczeń w zakresie transplantologii [Informator o umowach]. Informacje dotyczące kosztu przeszczepienia serca zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 62. Koszt przeszczepienia serca.

Nazwa produktu rozliczeniowego	Kod produktu rozliczeniowego	Wartość punktowa, pkt	Wycena punktowa, PLN	Koszt świadczenia, PLN
wariant 1 - przeszczepienie serca	5.54.01.0000006	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

pkt – liczba punktów; PLN – polski złoty.

2.13.7 Koszt opieki terminalnej

Koszty opieki terminalnej (inaczej nazywane kosztami *End Of Life*, EOL) w niniejszej analizie obejmowały koszty opieki paliatywnej domowej oraz stacjonarnej. Opieka paliatywna domowa rozliczana jest w ramach produktu rozliczeniowego „osobodzień w hospicjum domowym” (5.15.00.0000149) należącego do zakresu „świadczenia w hospicjum domowym” (15.2180.027.02). Z kolei opieka paliatywna stacjonarna rozliczana jest jako „osobodzień w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym” (5.15.00.0000146), przy czym produkt ten należy do zakresu „świadczenia w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym” (15.4180.021.02). Koszty EOL oszacowano na podstawie Zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hospicyjna, [REDACTED]

[REDACTED] [54/2024/DSOZ]. Mnożnik wartości punktu wyznaczono w odniesieniu do świadczenia bazowego (5.15.00.0000149) i obliczono jako medianę średnich cen produktów z umów o największej wartości ze wszystkich oddziałów wojewódzkich za 2025 rok [Informator o umowach].

W celu wyznaczenia całkowitego kosztu opieki, należało uwzględnić długość pobytu pacjentów w hospicjum domowym i stacjonarnym. [REDACTED]

[REDACTED]

Całkowity koszt opieki w ramach świadczeń stacjonarnych i domowych zważono następnie liczbą chorych korzystających z danego typu świadczenia (Tab. 64), uzyskując koszt EOL (Tab. 65).

[illegible]

Tab. 65. Koszt EOL.

Nazwa produktu rozliczeniowego	Taryfa, punkty	Koszt punktu, PLN	Koszt jednego osobodnia, PLN	Mediana długości opieki, dni	Koszt całkowity opieki*, PLN	Liczba chorych korzystających ze świadczenia
Osobodzień w oddziale medycyny paliatywnej / hospicjum stacjonarnym (5.15.00.0000146)						
Osobodzień w hospicjum domowym (5.15.00.0000149)						
Koszt EOL**						

*Obliczony jako iloczyn kosztu jednego osobodnia dla danego świadczenia i odpowiedniej mediany długości opieki.

****Obliczony jako średnia ważona kosztów całkowitych świadczeń, przy założeniu że wagę stanowi liczba chorych, którym udzielono świadczenia.**

PLN – polski złoty; n.d. – nie dotyczy

Poniżej zestawiono dane dotyczące podstawowych założeń oraz wartości parametrów wykorzystywanych w analizie ekonomicznej w wariancie podstawowym (Tab. 66, Tab. 67).

Założenie/parametr		Wartość w analizie podstawowej
Technika analityczna	Analiza podstawowa	Analiza kosztów-użyteczności
Model ekonomiczny		
Perspektywa analizy		Płatnik publiczny + pacjent, płatnik publiczny,
Horyzont czasowy		
Dyskontowanie		3,5% efekty zdrowotne 5,0% koszty
Korekta cyklu		
Próg opłacalności		244 821 PLN/QALY

Tab. 67. Zestawienie założeń w wariancie podstawowym analizy ekonomicznej.

[illegible]

[illegible]

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

2.15 Zakres analizy wrażliwości

2.15.1 Scenariuszowa analiza wrażliwości

[illegible]

2.15.2 Tornado

W niniejszym dokumencie przeprowadzono jednokierunkową analizę wrażliwości w formie wykresów tornado, prezentujących parametry, które mają najwyższy wpływ na ICUR. W tej części analizy wrażliwości uwzględniono m. in. zmienność parametrów dotyczących zużycia zasobów, użyteczności i krzywych przeżycia, przy czym dolne i górne granice wartości ustalono zgodnie z 95% przedziałami ufności. Głównym celem tego typu analiz jest identyfikacja parametrów o największym wpływie na ICUR, dlatego metodykę zaproponowaną przez autorów modelu uznano za odpowiednią, aby właściwie odzwierciedlić zmiany w zakresie poszczególnych parametrów.

Wyniki są prezentowane jako ICUR o minimalnej i maksymalnej wartości i są wykreślane na diagramie tornado. Schemat tornado przedstawia ICUR na osi X oraz testowane parametry na osi Y. Parametry o największym wpływie na ICUR zaprezentowano na górze diagramu.

2.15.3 Probabilistyczna analiza wrażliwości

W celu zbadania łącznej niepewności szacunków parametrów bazowych wykonano probabilistyczną analizę wrażliwości (PSA, ang. *probabilistic sensitivity analysis*).

Wyniki PSA zilustrowano przy pomocy wykresu rozrzutu (ang. *scatter plot*) w tzw. przestrzeni koszty-efekty (ang. *CE-plane*) w wersji inkrementalnej, przedstawiając na jednym wykresie rozkład różnic między analizowaną interwencją a komparatorem dla kosztów i efektów zdrowotnych.

2.16 Walidacja modelu

Autorzy modelu przeprowadzili jego walidację, w celu sprawdzenia, czy model działa poprawnie i zgodnie z założeniami. Przeprowadzono walidację zewnętrzną oraz walidację krzyżową, zgodnie z wytycznymi dotyczącymi dobrej praktyki modelowania [Briggs 2012].

W celu zapewnienia trafności fasadowej (ang. *face validity*), wyniki modelu poddano walidacji zewnętrznej poprzez porównanie z danymi z badań klinicznych, rzeczywistą praktyką kliniczną (ang. *real-world evidence*) oraz istniejącymi analizami ekonomicznymi. Na każdym etapie tworzenia modelu autorzy przeprowadzali konsultacje z wewnętrznymi ekspertami klinicznymi, które wspierały ocenę trafności klinicznej modelu. Dodatkowo przeprowadzono SEE z udziałem grupy ekspertów klinicznych z *National Amyloidosis Center* w Wielkiej Brytanii, w celu walidacji analizy przeżycia.

2.16.1 Proces walidacji technicznej

Twórcy modelu przeprowadzili niezależną ocenę jakości w celu sprawdzenia, czy model jest wolny od błędów i poprawnie zaimplementowany. Proces ten obejmował weryfikację struktury logicznej, parametrów wejściowych oraz sekwencję obliczeń. W trakcie tego procesu usuwano wszelkie błędy implementacyjne, obliczeniowe oraz niespójności. Poprawność działania modelu została zweryfikowana przez wewnętrznego recenzenta, niezwiązanego z jego pierwotną implementacją.

Obejmowało to szereg testów i weryfikacji dotyczących struktury obliczeniowej modelu, w tym:

- Weryfikację wszystkich danych wejściowych modelu oraz ich poprawnego powiązania ze strukturą obliczeniową.
- Weryfikację wszystkich formuł zastosowanych w modelu, ze szczególnym uwzględnieniem poprawności działania komórek zawierających równania warunkowe, w których wartości zależą od wybranych parametrów – tak, aby dla każdego warunku zwracane były prawidłowe wartości.
- Sprawdzenie wszystkich powiązań między arkuszami Excela w celu zapewnienia, że wszystkie wyniki są wyświetlane we właściwych miejscach.
- Przegląd i debugowanie całego kodu *Visual Basic for Applications*.
- Wyszukiwanie i rozwiązywanie typowych błędów w programie Microsoft Excel (np. błędów typu #REF, nieużywanych nazwanych zakresów, zerwanych powiązań, odwołań do zewnętrznych skoroszytów, błędów związanych z kopiowaniem/wklejaniem).
- Weryfikacja treści i formatowania w celu usunięcia błędów typograficznych oraz nieprawidłowości w formatowaniu.

2.16.2 Proces zapewnienia trafności fasadowej modelu

Po weryfikacji technicznej model przeszedł etap weryfikacji trafności fasadowej. Ten etap polegał na ocenie, czy wyniki modelu dokładnie odzwierciedlają praktykę kliniczną lub rzeczywiste scenariusze.

Dla wszystkich istotnych danych wejściowych modelu przeprowadzono również analizę wrażliwości na wartości skrajne. W celu przeprowadzenia tej analizy, oceniono kierunek oraz skalę zmian wyników dla każdej testowanej skrajnej wartości parametru, potwierdzając, że uzyskane zmiany były zgodne z oczekiwanymi rezultatami (np. jeśli wszystkie koszty leków zostaną ustawione na 0, model powinien zwrócić całkowity koszt leków równy 0). Proces walidacji modelu wykazał jedynie minimalne rozbieżności i nie ujawnił żadnych istotnych błędów obliczeniowych. Uwagi zgłoszone podczas walidacji zostały uwzględnione.

2.16.3 Proces walidacji zewnętrznej

Walidacja zewnętrzna została przeprowadzona zgodnie z wytycznymi dobrej praktyki modelowania [Briggs 2012]. Wyniki modelu, w tym parametry przeżycia, szacowana liczba przeżytych lat, QALY oraz koszty, zostały poddane walidacji zewnętrznej poprzez

porównanie z danymi klinicznymi, rzeczywistymi danymi z praktyki medycznej oraz wcześniejszymi analizami ekonomicznymi w celu zapewnienia trafności fasadowej.

- Wyniki dotyczące przeżycia uzyskane z modelu zostały porównane z danymi obserwowanymi w przebiegu ATTR-CM pochodzącymi z badań klinicznych, w tym badania HELIOS-B, oraz z rzeczywistą praktyką kliniczną w Wielkiej Brytanii, opisaną w badaniu Gillmore 2018.
- Pozostałe wyniki modelu, w tym liczba zyskanych lat życia (LYG, ang. *life-years gained*), QALY oraz koszty, zostały porównane z wynikami przedstawionymi w dokumentach HTA dotyczących tafamidisu.
- Przeprowadzono SEE.

2.16.4 Dodatkowa walidacja wewnętrzna

Po dopasowaniu modelu do warunków polskich przeprowadzono jego walidację wewnętrzną, w ramach której wszystkie koszty przyrównano do zera, aby sprawdzić czy ICUR wyniesie 0. Test wykazał zgodność z oczekiwanymi rezultatami, a zatem model przeszedł pozytywnie walidację wewnętrzną.

3 Wyniki

3.1 Analiza podstawowa

Zgodnie z informacjami przedstawionymi w rozdziale 1.2, jako komparatory dla wnioskowanej interwencji wybrano:

- tafamidis w przypadku pacjentów w klasach czynnościowych NYHA I-II,
- placebo (rozumiane jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej) w przypadku pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III.

Wybór ten wynika z faktu, że tafamidis jest obecnie finansowany ze środków publicznych wyłącznie u pacjentów w I i II klasie NYHA, natomiast wnioskowane wskazanie obejmuje również klasę III. Z tego względu przeprowadzono oddzielne analizy użyteczności kosztowej dla obu grup pacjentów z uwzględnieniem właściwych dla tych grup komparatorów.

Jak wykazano w Tab. 68 w populacji pacjentów w klasach NYHA I i II [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED] Wynik ten jest spójny w obrębie wszystkich uwzględnionych perspektyw.

W wariancie bez RSS, w perspektywie płatnika leczenie preparatem Amvuttra® [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

W Tab. 68 zestawiono wyniki inkrementalne analizy podstawowej dla populacji pacjentów w klasach NYHA I i II. Oszacowano różnicę QALY i kosztów, współczynnik ICUR oraz ceny progowe z perspektywy płatnika i wspólnej. [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Tab. 68. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta w klasach I-II NYHA.

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.
Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

W populacji pacjentów w klasie NYHA III w 24-letnim horyzoncie czasowym, terapia jednego pacjenta z ATTR-CM z zastosowaniem preparatu Amvuttra® wiąże się z Wynik ten jest spójny w obrębie wszystkich uwzględnionych perspektyw.

W wariantcie bez RSS, w perspektywie płatnika

Tab. 69. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta w klasie III NYHA.

Kategoria	Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie NYHA III			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie NYHA III			
Perspektywa płatnika			

Kategoria	Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka. Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

3.2 Scenariuszowa analiza wrażliwości

3.2.1 Scenariusz A

Scenariuszowa analiza wrażliwości wykazała, że w populacji pacjentów w klasach NYHA I i II

W perspektywie płatnika, w wariancie bez RSS,

W Tab. 70 zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

Tab. 70. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu
(klasy I-II NYHA).

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.

Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

W populacji pacjentów w klasie NYHA III

W wariancie bez RSS, w perspektywie płatnika leczenie preparatem Amvuttra®

Tab. 71. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasa III NYHA).

Kategoria	Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie NYHA III			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie NYHA III			

Kategoria	Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.
Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

3.2.2 Scenariusz B

Scenariuszowa analiza wrażliwości wykazała, że w populacji pacjentów w klasach I-II NYHA,

[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED] W wariantcie bez RSS, w perspektywie płatnika, [REDACTED]
[REDACTED],
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

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

W wariantcie bez RSS, w perspektywie płatnika, [REDACTED]

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

W Tab. 72 zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

**Tab. 72. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu [REDACTED]
[REDACTED] (klasy I-II NYHA).**

Kategoria		Amvuttra®		Tafamidis		Wyniki inkrementalne	
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II							
QALY							
Bez RSS							
Perspektywa płatnika							
Koszty, PLN							
ICUR, PLN/QALY							
Perspektywa wspólna							
Koszty, PLN							
ICUR, PLN/QALY							
Z RSS							
Perspektywa płatnika							
Koszty, PLN							
ICUR, PLN/QALY							
Perspektywa wspólna							
Koszty, PLN							
ICUR, PLN/QALY							
Cena progowa							
Perspektywa płatnika, CZN, PLN							
Perspektywa wspólna, CZN, PLN							

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość.

Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

W populacji pacjentów w klasie III NYHA, [REDACTED]

[REDACTED]

W wariancie bez RSS, w perspektywie płatnika,

W wariancie bez RSS, w perspektywie płatnika,

W poniższej tabeli zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

Tab. 73. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasa III NYHA).

Kategoria		Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne	
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie III NYHA					
QALY					
Bez RSS					
Perspektywa płatnika					
Koszty, PLN					
ICUR, PLN/QALY					
Perspektywa wspólna					
Koszty, PLN					
ICUR, PLN/QALY					
Z RSS					
Perspektywa płatnika					
Koszty, PLN					

Kategoria		Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
ICUR, PLN/QALY				
Perspektywa wspólna				
Koszty, PLN				
ICUR, PLN/QALY				
Cena progowa				
Perspektywa płatnika, CZN, PLN				
Perspektywa wspólna, CZN, PLN				

3.2.3 Scenariusz C

W Tab. 74 zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
QALY			
Bez RSS			

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.

Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

W populacji pacjentów w klasie III NYHA [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] W perspektywie płatnika, w wariantcie bez RSS, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W poniższej tabeli zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

Tab. 77. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] (klasa III NYHA).

Kategoria	Amvuttra®	BSC	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasie NYHA III			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			

Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN	3 672 197		
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

Ze względu na brak porównania z tafamidisem w populacji pacjentów w klasie III NYHA, dla tej subpopulacji nie przeprowadzono analizy z wykorzystaniem scenariusza E.

W perspektywie płatnika, w wariancie bez RSS,

W Tab. 79 zestawiono wyniki inkrementalne w opisanym przypadku.

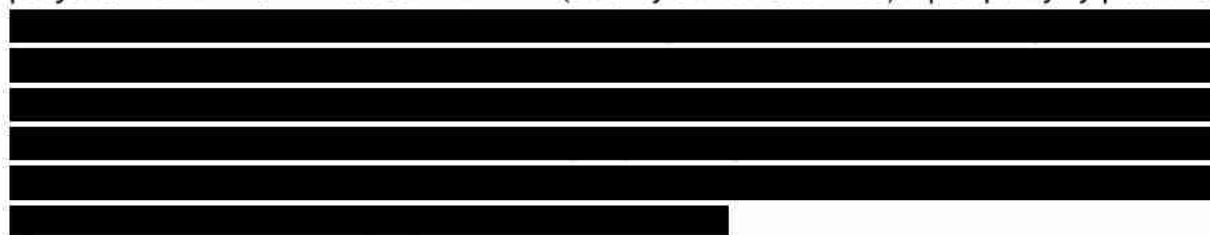
Tab. 79. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta

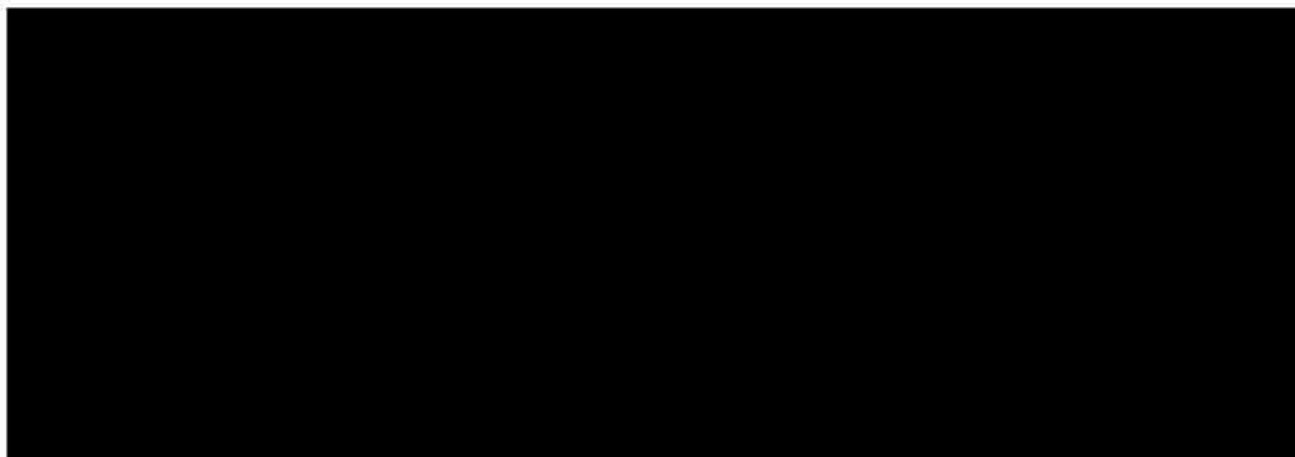
Kategoria	Amvuttra®	Tafamidis	Wyniki inkrementalne
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
QALY			
Bez RSS			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Z RSS			
Populacja pacjentów z ATTR-CM w klasach NYHA I i II			
Perspektywa płatnika			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Perspektywa wspólna			
Koszty, PLN			
ICUR, PLN/QALY			
Cena progowa			
Perspektywa płatnika, CZN, PLN			
Perspektywa wspólna, CZN, PLN			

CZN – cena zbytu netto; ICUR – inkrementalny współczynnik kosztów użyteczności; PLN – polski złoty; QALY – lata życia skorygowane o jakość; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka. Wysokość ceny progowej nie jest zależna od wariantu analizy (bez/z RSS).

3.3 Wykresy tornado

Na poniższym rysunku przedstawiono wykresy tornado prezentujące wyniki w populacji pacjentów z ATTR-CM w klasach I-II NYHA (wutrisyran vs. tafamidis) z perspektywy płatnika,





Rys. 28. Wykres tornado dla ICUR w porównaniu wutrisyranu z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant bez RSS

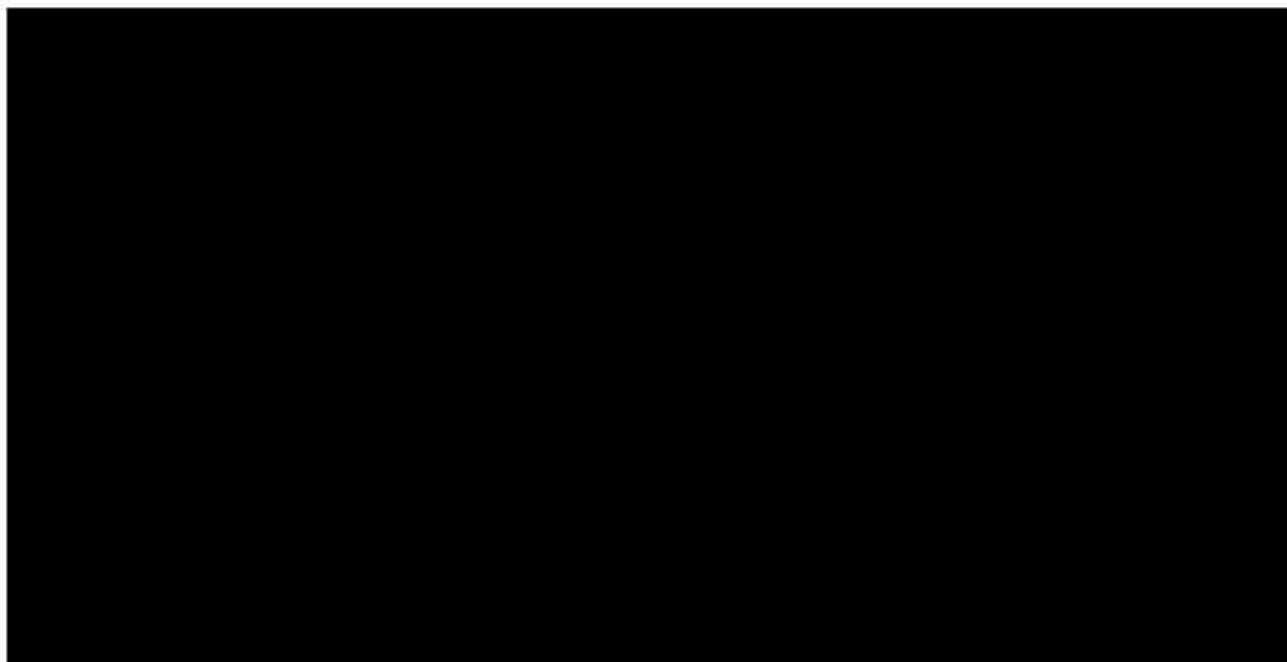


Rys. 29. Wykres tornado dla ICUR w porównaniu wutrisyranu z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant z RSS

3.4 Probabilistyczna analiza wrażliwości

Wyniki przeprowadzonej analizy probabilistycznej przedstawiono przy pomocy wykresu rozrzutu, na którym zaznaczono 1000 punktów (na osi odciętych zaznaczono różnicę efektu, na osi rzędnych różnicę kosztu) uzyskanych na drodze symulacji. [REDACTED]





Rys. 30. Wykres rozrzutu dla porównania terapii wutrisyranem z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant bez RSS.



Rys. 31. Wykres rozrzutu dla porównania terapii wutrisyranem z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant z RSS

4 Ograniczenia

Główne ograniczenie analizy stanowi fakt, [REDACTED]

Dodatkowym ograniczeniem analizy jest konieczność porównania wutrisyranu z jednym z dwóch różnych komparatorów w zależności od stopnia zaawansowania choroby. Wynika to z faktu, że tafamidis jest obecnie finansowany wyłącznie u pacjentów w I bądź II klasie NYHA, natomiast wnioskowane wskazanie obejmuje również klasę III. Z tego względu przeprowadzono oddzielne analizy użyteczności kosztowej z uwzględnieniem obu grup pacjentów i właściwych dla tych grup komparatorów.

5 Dyskusja

Celem niniejszej analizy było określenie ekonomicznej zasadności objęcia leku Amvuttra® (substancja czynna wutrisyran) finansowaniem ze środków publicznych w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (typu dzikiego albo dziedzicznej), tj. zasadności uwzględniającej koszt stosowania leczenia w zestawieniu z uzyskiwanymi efektami zdrowotnymi. Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o refundację leku w ramach istniejącego programu lekowego (PL) B.162 „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”. W analizie uwzględniono wyniki uzyskane w populacji pacjentów dorosłych z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I-III.

Jako komparatory dla wnioskowanej interwencji wybrano:

- tafamidis w przypadku pacjentów w klasach czynnościowych NYHA I-II,
- placebo (rozumiane jako stosowanie standardowej terapii podtrzymującej, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej) w przypadku pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III, (placebo rozumiane jako BSC, zgodnie z aktualnymi wytycznymi praktyki klinicznej).

Wybór ten wynika z faktu, że tafamidis jest obecnie finansowany ze środków publicznych wyłącznie u pacjentów w I i II klasie NYHA, natomiast wnioskowane wskazanie obejmuje również klasę III. Z tego względu przeprowadzono oddzielne analizy użyteczności kosztowej dla obu grup pacjentów z uwzględnieniem właściwych dla tych grup komparatorów.

Analizę ekonomiczną przeprowadzono z wykorzystaniem modelu dotyczącego bezpośrednio rozważanego problemu decyzyjnego. Model zaimplementowano w programie Microsoft Office Excel i dostosowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych na temat zużycia zasobów, kosztów jednostkowych, stóp dyskontowych oraz przeżycia w populacji ogólnej. Model obejmuje zarówno terapię lekiem Amvuttra®, jak i leczenie tafamidisem oraz najlepszą terapię podtrzymującą. [REDACTED]

W celu oszacowania pełnych kosztów związanych z leczeniem preparatem Amvuttra®, tafamidisem i przy zastosowaniu wyłącznie terapii podtrzymującej konieczne było oszacowanie bezpośredniego zużycia zasobów i poniesionych kosztów opieki zdrowotnej oraz kosztów związanych z poprawą życia pacjenta. W analizie uwzględniono również koszty wynikające z leczenia działań niepożądanych oraz dekrementy użyteczności z nimi związane.

Koszty związane z leczeniem preparatem Amvuttra®, tafamidisem bądź stosowaniem terapii podtrzymującej przedstawiono zarówno z perspektywy płatnika, jak i perspektywy wspólnej.

Analiza wykazała, że terapia lekiem Amvuttra® w populacji pacjentów w klasach NYHA I i II

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Również w przypadku populacji pacjentów w klasie NYHA III

Podczas oceny zasadności refundacji leku Amvuttra® należy wziąć pod uwagę, że wprowadzenie refundacji tego preparatu w populacji pacjentów z ATTR-CM znajduje poparcie w wynikach badań klinicznych. Wyniki opisanego szczegółowo w analizie klinicznej badania HELIOS-B wykazują skuteczność wutrisyranu w leczeniu pacjentów z ATTR-CM. Jak udowodniono we wspomnianym badaniu, terapia wutrisyranem pozwala na uzyskanie korzystniejszych wyników w zakresie śmiertelności z dowolnej przyczyny, częstości występowania nawracających zdarzeń sercowo-naczyniowych, poprawy lub utrzymania wyjściowej klasy czynnościowej NYHA, dystansu przebytego podczas 6-MWT oraz wyników KCCQ-OS w porównaniu do stosowania wyłącznie najlepszej opieki podtrzymującej [AKL Amvuttra 2025]. Ponadto, jak wskazano w analizie problemu decyzyjnego, ATTR-CM jest chorobą nieodwracalną o postępującym charakterze. Ograniczenia związane ze świadomością choroby i wynikające z tego opóźnienia diagnostyczne sprawiają, że rozpoznanie ATTR-CM stawiane jest często dopiero w zaawansowanym stadium choroby. Dodatkowo, obecnie terapia w ramach programu lekowego B.162 dostępna jest wyłącznie dla chorych z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I-II. Zgodnie z założeniami przedstawionymi przez Zleceniodawcę, w przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej do leczenia wutrisyranem kwalifikować się będą również pacjenci w klasie czynnościowej NYHA III, co przyczyni się do skutecznego i bezpiecznego zaspokojenia potrzeby medycznej tej grupy pacjentów.

6 Wnioski końcowe

Wyniki analizy podgrup badania HELIOS-B wskazują, że terapia z zastosowaniem wutrisyranu u pacjentów z ATTR-CM z niewydolnością serca w klasach czynnościowych I-II NYHA jest skuteczniejsza od leczenia tafamidisem w zakresie zmiany jakości życia związanej ze stopniem zaawansowania choroby, co w modelu ekonomicznym przekłada się na wzrost QALY w porównaniu z tafamidisem. Wutrisyran wykazuje również wyższą skuteczność w porównaniu z BSC u pacjentów w klasie czynnościowej III NYHA. Wyższe wydatki związane z leczeniem preparatem Amvuttra® wynikają przede wszystkim z kosztu leku.

Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Amvuttra® jest uzasadnione. W analizie podgrup badania klinicznego wykazano przewagę wutrisyranu nad technologią obecnie refundowaną w leczeniu ATTR-CM u pacjentów z niewydolnością serca w klasach czynnościowych I-II NYHA. Ponadto, wprowadzenie refundacji wutrisyranu pozwoli na rozszerzenie warunków kwalifikacji do leczenia ATTR-CM i umożliwi dostęp do terapii pacjentom z niewydolnością serca w klasie czynnościowej III NYHA, którzy do tej pory otrzymywali wyłącznie leczenie objawowe. Zapewnienie pacjentom skutecznego leczenia celowanego umożliwi zarówno wydłużenie życia, jak i poprawę jego jakości.

7 Aneks 1. Przegląd analiz ekonomicznych

7.1 Metodyka przeglądu

Wykonano przegląd systematyczny analiz ekonomicznych dotyczących wutrisiranu w leczeniu dorosłych pacjentów z ATTR-CM (typu dzikiego albo dziedziczna). Przeglądem objęto bazy PubMed oraz Cochrane Library. Strategię wyszukiwania przedstawiono w Tab. 80 oraz Tab. 81.

Tab. 80. Strategia wyszukiwania bazy Medline (PubMed) – data ostatniego przeszukiwania: 14.04.2026 r.

Identyfikator zapytania	Słowa kluczowe	Wynik
#1	vutrisiran	131
#2	vutrisiran[MeSH Terms]	0
#3	ALN-TTRSC02	3
#4	Amvuttra	10
#5	N07XX18	0
#6	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5	133
#7	Economics[MeSH Terms]	769 916
#8	Economic*[tw]	909 232
#9	cost*	1 247 891
#10	CEA	61 841
#11	CUA	3 400
#12	CMA	10 042
#13	#7 OR #8 OR #9 OR #10 OR #11 OR #12	2 194 462
#14	#6 AND #13	12

Tab. 81 Strategia wyszukiwania bazy The Cochrane Library – data ostatniego przeszukiwania: 14.04.2026 r.

Identyfikator zapytania	Słowa kluczowe	Wynik
#1	vutrisiran	74
#2	ALN-TTRSC02	7
#3	Amvuttra	2
#4	N07XX18	0
#5	#1 OR #2 OR #3 OR #4	76
#6	Economics	22 120
#7	Economic*	47 457
#8	cost*	119 597
#9	CEA	2 818
#10	CUA	425

Identyfikator zapytania	Słowa kluczowe	Wynik
#11	CMA	4 168
#12	#6 OR #7 OR #8 OR #9 OR #10 OR #11	144 045
#13	#5 AND #12	5

Włączono opracowania spełniające następujące kryteria:

- analiza ekonomiczna (tj. analiza mająca na celu oszacowanie współczynnika ICER lub ICUR dla danej technologii lub wskazanie na dominację/zdominowanie technologii),
- dotycząca wutrisyranu,
- w leczeniu dorosłych pacjentów z ATTR-CM (typu dzikiego albo dziedziczna),
- publikacje w języku angielskim lub polskim.

Wykluczono publikacje nie spełniające powyższych kryteriów włączenia.

W opisie analizy uwzględniono:

- kraj, w którym została przeprowadzona,
- perspektywę,
- typ modelu,
- długość cykli, horyzont,
- najważniejsze parametry i źródła,
- oraz inne istotne elementy.

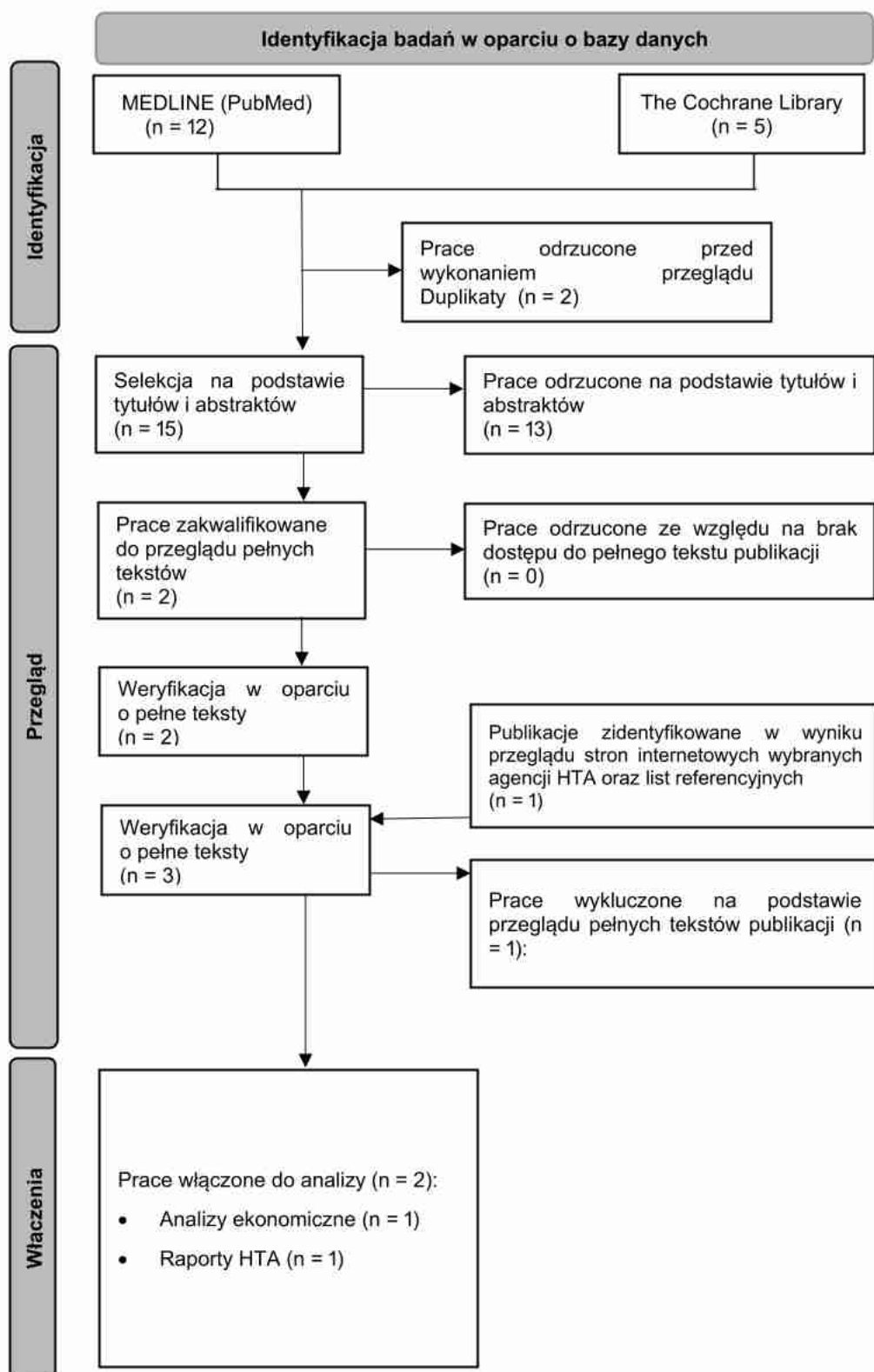
Z włączonych analiz ekstrahowano koszty, QALY oraz ICUR/ICER lub inne wyniki analizy ekonomicznej.

7.2 Wyniki przeglądu

W ramach przeglądu systematycznego dot. analiz ekonomicznych oceniono wstępnie 15 artykułów pod kątem zgodności tytułu i abstraktu z tematem opracowania. Zidentyfikowano jedno opracowanie spełniające kryteria włączenia do analizy. Dodatkowo, w wyniku przeszukiwania stron internetowych wybranych agencji oceny technologii medycznych, odnaleziono dwie publikacje spełniające kryteria włączenia do analizy. Selekcji dokonywało niezależnie od siebie dwóch badaczy (JG i KK). W przypadku niezgodności między badaczami, prowadzono dyskusję do czasu osiągnięcia konsensusu.

Ostatecznie do przeglądu analiz ekonomicznych włączono 2 analizy ekonomiczne.

Listę publikacji włączonych do przeglądu przedstawiono niżej (Tab. 82). Diagram przedstawiający kolejne etapy wyszukiwania i selekcji opracowań wtórnych przedstawiono poniżej (por. Rys. 32).



Rys. 32. Selekcja badań włączonych do przeglądu systematycznego analiz ekonomicznych (diagram PRISMA).

Poniżej zestawiono wykaz prac włączonych (Tab. 82) do przeglądu analiz ekonomicznych.

Tab. 82. Lista prac włączonych w przeglądzie analiz ekonomicznych.

Nr	Oznaczenie	Publikacja
Analizy ekonomiczne		
1.	ICER 2024	Wasfy JH, Winn AN, Touchette DR, Nikitin D, Shah KK, Richardson M, Lee W, Kim S, Rind DM. Disease Modifying Therapies for the Treatment of Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy; Final Evidence Report. Institute for Clinical and Economic Review, October 21, 2024.
2.	Aimo 2025	Aimo A, Lorenzoni V, Castiglione V, Vergaro G, Emdin M. Cost-effectiveness of vutrisiran, tafamidis, and their combination in amyloid transthyretin cardiomyopathy. Eur Heart J Qual Care Clin Outcomes. Published online December 6, 2025. doi:10.1093/ehjqcco/qcaf152

7.3 Omówienie włączonych badań i wnioski

7.3.1 ICER 2024

Instytut ICER opracował model ekonomiczny, oparty na kluczowych badaniach klinicznych oraz wcześniejszych modelach ekonomicznych, w celu oszacowania efektywności kosztowej stosowania stabilizatorów transtyretyny w leczeniu ATTR-CM – tafamidisu, akoramidisu oraz wutrisyranu. Z uwagi na ograniczoną dostępność danych, nie było możliwe porównanie korzyści netto wynikających z tych terapii, szczególnie w tej samej populacji pacjentów. Z tego względu analizy efektywności kosztowej nie została przeprowadzona dla konkretnego produktu, lecz dla stabilizatorów transtyretyny jako klasy leków, dodanych do BSC, w porównaniu z samą BSC. Ponadto, na etapie tworzenia modelu, dostępne wyniki badania klinicznego dla wutrisyranu okazały się niewystarczające do uwzględnienia tego leku w analizie [ICER 2024].

Dane dotyczące populacji w modelu zostały oparte na wynikach badania klinicznego ATTRIBUTE-CM dla akoramidisu. Struktura modelu opierała się na klasyfikacji Nowojorskiego Towarzystwa Kardiologicznego (NYHA), uwzględniając stany zdrowia: I klasę NYHA, II klasę NYHA, III klasę NYHA, IV klasę NYHA oraz śmierć jako stan końcowy. Prawdopodobieństwa przejść w modelu, odzwierciedlające różnice w progresji przez klasy NYHA przy leczeniu stabilizatorem transtyretyny oraz bez niego, zostały oparte na danych z badania ATTR-ACT dotyczącego tafamidisu. Tego rodzaju dane nie były dostępne dla akoramidisu. Przyjęto założenie, że skuteczność kliniczna w zakresie progresji niewydolności serca jest jednakowa dla wszystkich stabilizatorów transtyretyny uwzględnionych w modelu tj. akoramidisu i tafamidisu. W modelu uwzględniono możliwość poprawy w klasie funkcjonalnej np. przejście z klasy NYHA IV do NYHA III, jak i przejścia przez więcej niż jedną klasę funkcjonalną w jednym cyklu np. z klasy NYHA I do NYHA III. Hospitalizacje związane z powikłaniami sercowo-naczyniowymi zostały uwzględnione jako zdarzenia przejściowe (ang. *transient event*) doświadczane przez część żyjących pacjentów, zróżnicowane według klasy funkcjonalnej NYHA, aby uwzględnić różnice w częstości, kosztach oraz obniżeniu jakości życia, związane z hospitalizacjami w leczeniu ATTR-CM ze stabilizatorem transtyretyny oraz bez niego. W modelu nie uwzględniono zdarzeń związanych z przeszczepem serca lub wątroby, ze względu na niską częstość występowania oraz brak danych dotyczących wpływu terapii modyfikujących przebieg choroby na częstość przeszczepów. Przerwanie leczenia w modelu było uwzględnione na podstawie danych

z badania ATTRibute-CM. Osoby rezygnujące z terapii podążały ścieżką progresji w klasie NYHA i odpowiadającymi im prawdopodobieństwami przejść zgodnymi z grupą placebo. Pacjenci uwzględnieni w modelu pozostawali w nim do momentu zgonu. Przejście do stanu zgonu mogło nastąpić z dowolnego stanu zdrowia, zarówno w wyniku zgonu z dowolnej przyczyny, jaki i związanego z ATTR-CM. Zgon związany z ATTR-CM w modelu został dopasowany do wskaźników przeżywalności zaobserwowanych w badaniu klinicznym ATTR-ACT dotyczącym tafamidisu [ICER 2024].

W modelu szacowano łączną liczbę zyskanych lat życia (LYG, ang. life years gained), lata życia skorygowane o jakość (QALY, ang. quality-adjusted life years), lata życia o równej wartości (evLY, ang. equal value life years), całkowite koszty oraz skumulowany czas przebywania w klasach NYHA I i II, obliczone w horyzoncie czasowym całego życia. Koszty i efekty zdrowotne były dyskontowane na poziomie 3% rocznie, a długość cyklu w modelu wynosiła 6 miesięcy. Wobec braku bezpośrednich danych porównawczych oraz różnic w charakterystyce pacjentów w badaniach ATTRibute-CM i ATTR-ACT, zastosowano podejście oparte na efekcie klasy leków – stabilizatorów transtyretyny [ICER 2024]. Wyniki analizy przedstawiono w Tab. 78 i Tab. 84.

Tab. 83. Zdyskontowane wyniki analizy podstawowej dla leczenia stabilizatorem transtyretyny w połączeniu z BSC w porównaniu do BSC.

Leczenie	Koszt leku* [\$]	Koszt hospitalizacji [\$]	Koszty inne niż lekowe# [\$]	Całkowity koszt* [\$]	Lata życia	QALYs	evLYs	Lata w klasie NYHA I i II
Stabilizator transtyretyny + BSC	744 000	69 000	45 000	858 000	4,4	2,9	3,2	2,7
BSC	0	45 000	31 000	76 000	3,0	2,0	2,0	1,8

*Na podstawie cen tafamidisu.

#Obejmujące koszty opieki wspomagającej oraz terapii innych niż stabilizujące.

BSC – najlepsza terapia podtrzymująca (ang. *best supportive care*); evLYs – lata życia o równej wartości (ang. *equal value life years*); NYHA – klasyfikacja Nowojorskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ang. *New York Heart Association*); QALYs – lata życia skorygowane o jakość (ang. *quality-adjusted life years*)

Źródło: ICER 2024

Tab. 84. Inkrementalne współczynniki efektywności kosztowej dla scenariusza podstawowego.

Leczenie	Komparator	Koszt QALY* [\$]	Koszt LY* [\$]	Koszt evLY [\$]	Koszt za dodatkowy rok w I i II klasie NYHA* [\$]
Stabilizator transtyretyny + BSC	BSC	873 000	566 000	627 000	871 000

*Na podstawie cen tafamidisu.

BSC – najlepsza terapia podtrzymująca (ang. *best supportive care*); evLYs – lata życia o równej wartości (ang. *equal value life years*); NYHA – klasyfikacja Nowojorskiego Towarzystwa Kardiologicznego (ang. *New York Heart Association*); QALYs – lata życia skorygowane o jakość (ang. *quality-adjusted life years*)

Źródło: ICER 2024

Analiza wykazała, że stabilizatory transtyretyny (w połączeniu z BSC) wydłużają czas życia pacjentów oraz poprawiają jego jakość, jednak wiążą się z znacznie wyższymi kosztami w porównaniu z samą BSC. Zakładając takie same efekty terapeutyczne dla akoramidisu i tafamidisu oraz przyjmując cenę tafamidisu, efektywność kosztowa stabilizatorów transtyretyny (w połączeniu z BSC) przekroczyła powszechnie stosowane progi efektywności kosztowej w USA. Ze względu na brak danych niezbędnych do modelowania dotyczących wutrisyranu, nie został on uwzględniony w analizie [ICER 2024].

7.3.2 Aimo 2025

Celem opracowania Aimo 2025 była analiza efektywności kosztowej, porównująca trzy schematy terapeutyczne – monoterapię wutrisyranem, monoterapię tafamidisem oraz terapię skojarzoną wutrisyranem i tafamidisem.

W analizie wykorzystano dane dotyczące efektów klinicznych z badania HELIOS-B oraz ceny katalogowe leków w USA z 2025 roku – 477 404 USD za wutrisyran i 225 000 USD za tafamidis. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika w 3,5-letnim horyzoncie czasowym, zgodnym z 42-miesięcznym okresem obserwacji w badaniu.

Z uwagi na brak dostępu do danych indywidualnych pacjentów, wszystkie dane wejściowe do modelu pochodziły z opublikowanych materiałów dotyczących zbiorczych wyników w badaniu HELIOS-B.

Dane dotyczące śmiertelności zaczerpnięto z ramion terapeutycznych badania:

- 43 zgony wśród 196 pacjentów (przeżywalność 78,1%) w grupie monoterapii wutrisyranem,
- 27 zgonów wśród 129 pacjentów (przeżywalność 79,1%) w grupie monoterapii tafamidisem (reprezentowanej przez grupę placebo plus tafamidis),
- 17 zgonów wśród 130 pacjentów (przeżywalność 86,9%) w grupie terapii skojarzonej.

Na podstawie powyższych wyników oszacowano średni czas przeżycia (lata życia) w ciągu 3,5 roku na 2,73 lat dla wutrisyranu, 2,77 lat dla tafamidisu oraz 3,04 lat dla wutrisyranu z tafamidisem.

W badaniu nie zbierano bezpośrednio miar użyteczności, w związku z czym wyniki KCCQ-OS przeliczono na wartości użyteczności, przy użyciu opublikowanego algorytmu mapowania do kwestionariusza SF-6D, opracowanego dla pacjentów z niewydolnością serca. Wartości użyteczności zaimplementowano na poziomie grup terapeutycznych, stosując wartości średnie dla każdego punktu oceny. Na podstawie względnych różnic w wynikach KCCQ-OS między grupami oraz zakładając brak różnic w wyjściowych rozkładach KCCQ-OS, oszacowana użyteczność na początku badania wynosiła 0,69 dla wszystkich grup. Pod koniec okresu obserwacji oszacowane użyteczności wynosiły 0,65 zarówno dla monoterapii wutrisyranem, jak i dla połączenia wutrisyranu z tafamidisem, oraz 0,63 dla monoterapii tafamidisem. Wagi te odzwierciedlają oczekiwane różnice w jakości życia w okresie badania. Lata życia skorygowane o jakość (ang. *quality-adjusted life year*; QALY) oszacowano przyjmując wyjściowe wartości użyteczności dla połowy szacowanego czasu przeżycia każdej grupy oraz wartości użyteczności z końca okresu obserwacji dla drugiej połowy szacowanego przeżycia. Dla poszczególnych grup terapeutycznych oszacowano następujące wartości QALY:

- wutrisyran – 1,82,
- tafamidis – 1,83,
- wutrisyran z tafamidisem – 2,03.

Wykorzystując koszty leków i oszacowane wartości QALY, obliczono wartości inkrementalnych współczynników kosztów użyteczności (ang. *incremental cost-utility ratio*; ICUR). Wyniki przedstawiono w poniższej tabeli.

Tab. 85. Wartości ICUR oszacowane w analizie Aimo 2025.

Schemat terapeutyczny	ICUR, USD/QALY
Wutrisyran	715 587
Tafamidis	341 465
Wutrisyran + tafamidis	1,05 mln

Wartości ICUR dla wszystkich schematów terapeutycznych przekroczyły próg opłacalności, wynoszący 100 000 - 150 000 USD na QALY, co wskazuje na niską efektywność kosztową. W probabilistycznej analizie wrażliwości, prawdopodobieństwo osiągnięcia efektywności kosztowej w przypadku terapii skojarzonej wyniosło maksymalnie 0,1%.

Efektywność kosztowa wutrisyranu była niska we wszystkich analizowanych scenariuszach. Autorzy opracowania wnioskują, że cena wutrisyranu musiałaby spaść o około 79-87%, aby zrównać się z progami opłacalności. W przypadku terapii łączonej konieczna byłaby obniżka ceny o około 86%, aby uzyskać wartość ICUR równą progowi 150 000 USD.

Autorzy wskazują jednak istotne ograniczenia analizy:

- bazowanie analizy wyłącznie na zbiorczych danych z badania klinicznego, ograniczające możliwość uwzględnienia zmienności przeżycia, użyteczności i ścieżek leczenia na poziomie poszczególnych pacjentów,
- wdrożenie tafamidisu u pacjentów przypisanych do monoterapii wutrisyranem mogło wpłynąć na błędną klasyfikację ekspozycji w danych zagregowanych, użytych do oszacowania wyników klinicznych i użyteczności,
- wartości QALY pochodziły z zagregowanych użyteczności na poziomie grup, co mogło wprowadzić błąd przeżywalności,
- krótki horyzont analizy ograniczony wyłącznie do czasu trwania badania,
- wartości użyteczności uzyskano pośrednio poprzez mapowanie wyników KCCQ-OS do SF-6D, a nie z bezpośrednio raportowych miar.

Podsumowując, analiza Aimo 2025 wykazała, że tafamidis charakteryzuje się największą efektywnością kosztową spośród analizowanych schematów terapeutycznych.

8 Aneks 2. Przegląd wartości użyteczności

8.1 Metodyka przeglądu

Wykonano przegląd systematyczny mający na celu odnalezienie badań pierwotnych oraz opracowań wtórnych dotyczących użyteczności występujących w modelu stanów zdrowia. Przeglądem objęto bazę PubMed. Strategię wyszukiwania przedstawiono w Tab. 86.

Tab. 86. Strategia przeszukiwania bazy Medline (PubMed) – data ostatniego przeszukania: 14.04.2026 r.

Identyfikator zapytania	Słowa kluczowe	Wynik
#1	Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy	2 310
#2	attr-cm	590
#3	ATTR AND CM	696
#4	"cardiomyopathies"[Mesh]	122 924
#5	"Amyloidosis, Transthyretin-Related" [Supplementary Concept]	0
#6	Transthyretin OR Amyloid OR Cardiomyopathy	320 700
#7	Transthyretin Amyloidosis	3 014
#8	"Amyloidosis"[Mesh]	31 163
#9	#1 OR #2 OR #3 OR #4 OR #5 OR #6 OR #7 OR #8	331 669
#10	(utility OR utilities OR "quality of life" OR qol OR QALY OR QUALY) AND ("eq 5d" OR eq-5d OR euroqol OR "sf 36" OR sf-36 OR "sf 6D" OR sf-6D OR tto OR "time trade off" OR "standard gamble" OR HUI-3)	43 440
#11	#9 AND #10	268

Włączano opracowania spełniające następujące kryteria:

- typ publikacji: badanie pierwotne, przegląd systematyczny lub analiza ekonomiczna,
- dotycząca wartości użyteczności wg klasy NYHA w ATTR-CM,
- jakość życia oceniana przy użyciu kwestionariusza EQ-5D-5L,
- publikacje pełnotekstowe,
- publikacje w języku angielskim lub polskim.

Wykluczono publikacje nie spełniające powyższych kryteriów włączenia lub spełniające poniższe:

- prace oceniające użyteczności w schorzeniach innych niż w ATTR-CM,
- prace, w których oceniano użyteczności w szerszej grupie pacjentów, nie tylko wśród pacjentów z ATTR-CM,
- raporty przypadków/badania obserwacyjne.

W charakterystyce wyekstrahowanych użyteczności uwzględniono:

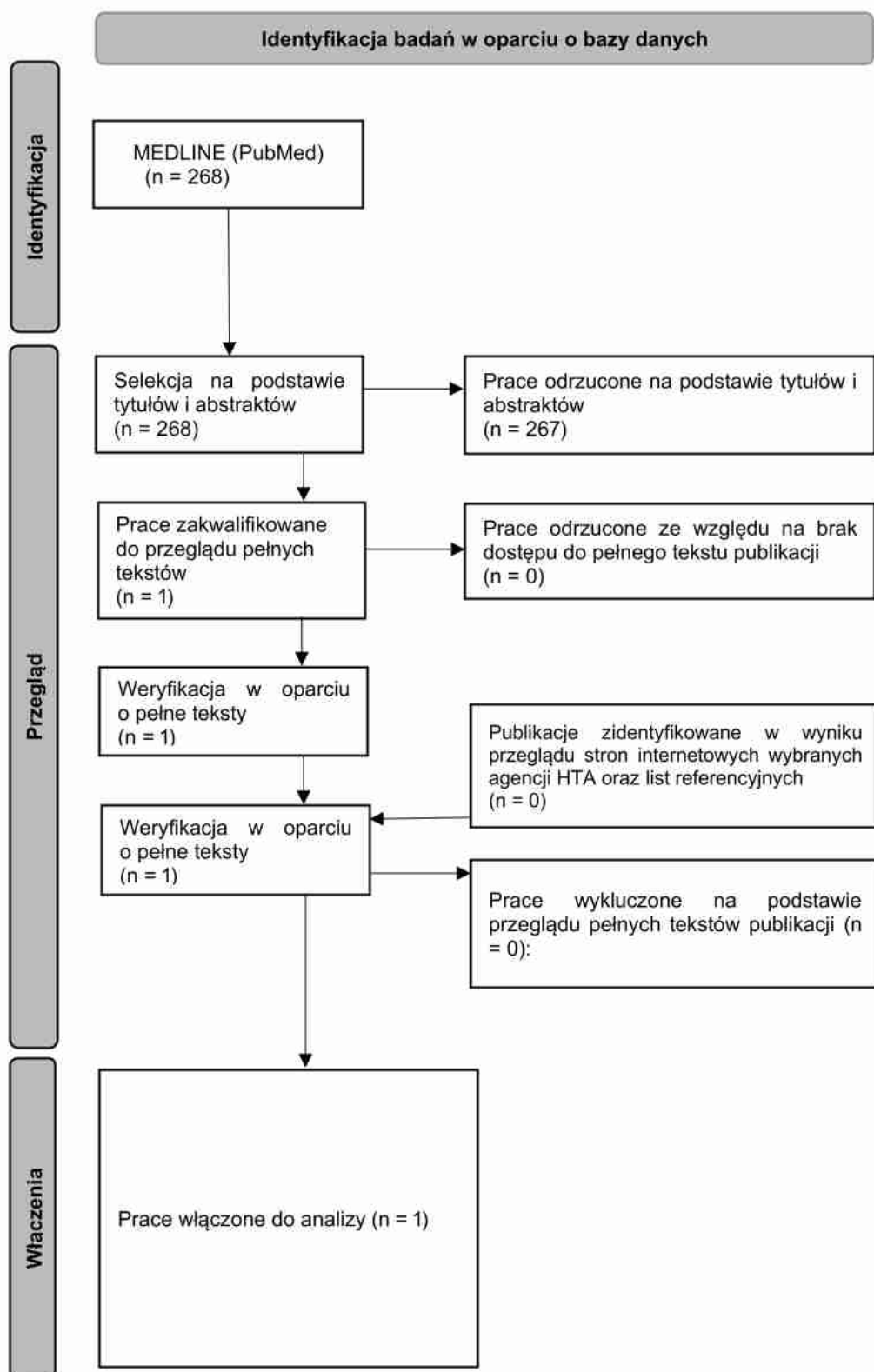
- metodę uzyskania,
- populację badaną,

- szczegóły dotyczące stanu zdrowia badanych,
oraz inne istotne elementy.

Z włączonych analiz ekstrahowano wartości użyteczności wyróżnionych stanów zdrowia.

8.2 Wyniki przeglądu

Diagram przedstawiający kolejne etapy wyszukiwania i selekcji opracowań wtórnych przedstawiono na Rys. 33. W ramach przeglądu systematycznego dot. użyteczności oceniono wstępnie 268 artykułów pod kątem zgodności tytułu i abstraktu z tematem opracowania. Zidentyfikowano 1 pracę, której pełny teksty poddano szczegółowej analizie pod kątem kryteriów włączenia i wykluczenia z opracowania.



Rys. 33. Selekcja badań włączonych do przeglądu systematycznego użyteczności (diagram PRISMA).

W wyniku przeglądu pełnych tekstów publikacji, włączono jedną publikację Eldhagan 2023.

Tab. 87. Wykaz prac włączonych do przeglądu użyteczności.

Nr	Publikacja
1.	Eldhagen, P., Lehtonen, J., Gude, E., Gustafsson, F., Bagger-Bahnsen, A., Vakevainen, M., ... & Nordic PROACT study group. (2023). Health-related quality of life among transthyretin amyloid cardiomyopathy patients. <i>ESC heart failure</i> , 10(3), 1871-1882.

8.2.1 Eldhagen 2023

Badanie PROACT zostało przeprowadzone w celu zbadania HRQoL u pacjentów z ATTR-CM. Zrealizowano je w 12 ośrodkach kardiologicznych w Norwegii, Szwecji, Finlandii i Danii. W badaniu łącznie wzięło udział 169 pacjentów (średni wiek 77,7 lat), z czego 92% stanowili mężczyźni. 76% pacjentów miało postać dziką ATTRwt, 15% postać dziedziczną ATTRv, natomiast u 9% nie określono typu genetycznego choroby. Pod względem oceny zaawansowania choroby, 7,7% pacjentów znajdowało się w I klasie wg klasyfikacji NYHA, 54,4% w klasie II NYHA, a 34,9% w klasie III oraz 1,8% w IV klasie NYHA (brakujące lub niedostępne dane stanowiły 1,2%).

Pacjenci wypełniali kwestionariusze dotyczące HRQoL w formie KCCQ, EQ-5D-5L z wizualną skalą analogową oraz MDI. Pacjenci z wyższą klasą NYHA mieli gorszą jakość życia, co odzwierciedlały niższe wyniki w kwestionariuszach KCCQ i EQ-5D-5L oraz wyższy wynik w skali depresji MDI. HRQoL mierzona za pomocą kwestionariusza EQ-5D-5L była porównywalna z wcześniejszymi badaniami dotyczącymi pacjentów z ATTR-CM oraz pacjentów z rozpoznaną niewydolnością serca, jednak nieco niższa (pod względem wyników wizualnej skali analogowej) niż u pacjentów z diagnozami kardiologicznymi takimi jak choroba niedokrwienna serca, arytmia czy wrodzone wady serca. Średni wynik ($\pm$ SD) w kwestionariuszu KCCQ wynosił: $64,3 \pm 23,1$ dla łącznego wyniku; $64,8 \pm 20,9$ dla ogólnego wyniku podsumowującego (OSS) oraz $65,1 \pm 21,5$ dla klinicznego wyniku podsumowującego (ang. *clinical summary score*). Całkowity wynik użyteczności EQ-5D-5L wyniósł $0,8 \pm 0,2$, a wynik EQ-5D-5L w skali VAS wyniósł $62,9 \pm 20,6$. Wartości użyteczności (odczytane z wykresów) przedstawiono w Tab. 88.

Tab. 88. Wartość użyteczności wg klasy NYHA z badania Eldhagen 2023.

NYHA	Wartość użyteczności*
I	0,92
II	0,83
III	0,78
IV	0,67

*Wartości odczytane z wykresów.

Źródło: Eldhagen 2023

9 Aneks 3. Tablice trwania życia

Poniżej przedstawiono tablice trwania życia [GUS 2024] zaimplementowane w modelu w celu lepszego dopasowania wyników do populacji Polski.

Tab. 89 Tablica trwania życia w 2024 r. - mężczyźni

Wiek	Prawdopodobieństwo zgonu	Liczba dożywających	Liczba zmarłych	Ludność stacjonarna		Przeciętne dalsze trwanie życia
				w wieku x	skumulowana	
x	q _x	l _x	d _x	L _x	T _x	e _x
Mężczyźni ogółem						
0	0,003930	100000	393	99646	7493175	74,93
1	0,000270	99607	27	99594	7393529	74,23
2	0,000200	99580	20	99570	7293935	73,25
3	0,000160	99560	16	99552	7194365	72,26
4	0,000130	99544	13	99538	7094813	71,27
5	0,000110	99531	11	99526	6995275	70,28
6	0,000100	99520	10	99515	6895749	69,29
7	0,000100	99510	10	99505	6796234	68,30
8	0,000100	99500	10	99495	6696729	67,30
9	0,000100	99490	10	99485	6597234	66,31
10	0,000110	99480	11	99475	6497749	65,32
11	0,000120	99469	12	99463	6398274	64,32
12	0,000140	99457	14	99450	6298811	63,33
13	0,000160	99443	16	99435	6199361	62,34
14	0,000200	99427	20	99417	6099926	61,35
15	0,000240	99407	23	99396	6000509	60,36
16	0,000310	99384	31	99369	5901113	59,38
17	0,000390	99353	39	99334	5801744	58,40
18	0,000480	99314	48	99290	5702410	57,42
19	0,000570	99266	56	99238	5603120	56,45
20	0,000650	99210	65	99178	5503882	55,48
21	0,000720	99145	71	99110	5404704	54,51
22	0,000770	99074	76	99036	5305594	53,55
23	0,000810	98998	81	98958	5206558	52,59
24	0,000850	98917	84	98875	5107600	51,64
25	0,000890	98833	88	98789	5008725	50,68
26	0,000940	98745	92	98699	4909936	49,72
27	0,001000	98653	99	98604	4811237	48,77
28	0,001060	98554	105	98502	4712633	47,82
29	0,001140	98449	112	98393	4614131	46,87
30	0,001230	98337	121	98277	4515738	45,92
31	0,001330	98216	130	98151	4417461	44,98
32	0,001440	98086	142	98015	4319310	44,04
33	0,001550	97944	151	97869	4221295	43,10
34	0,001660	97793	163	97712	4123426	42,16
35	0,001780	97630	174	97543	4025714	41,23

36	0,001900	97456	185	97364	3928171	40,31
37	0,002030	97271	197	97173	3830807	39,38
38	0,002160	97074	210	96969	3733634	38,46
39	0,002310	96864	224	96752	3636665	37,54
40	0,002470	96640	238	96521	3539913	36,63
41	0,002650	96402	256	96274	3443392	35,72
42	0,002850	96146	274	96009	3347118	34,81
43	0,003070	95872	294	95725	3251109	33,91
44	0,003310	95578	316	95420	3155384	33,01
45	0,003590	95262	342	95091	3059964	32,12
46	0,003900	94920	371	94735	2964873	31,24
47	0,004250	94549	401	94349	2870138	30,36
48	0,004650	94148	438	93929	2775789	29,48
49	0,005080	93710	476	93472	2681860	28,62
50	0,005570	93234	520	92974	2588388	27,76
51	0,006120	92714	567	92431	2495414	26,92
52	0,006730	92147	620	91837	2402983	26,08
53	0,007390	91527	677	91189	2311146	25,25
54	0,008140	90850	739	90481	2219957	24,44
55	0,008930	90111	805	89709	2129476	23,63
56	0,009780	89306	873	88870	2039767	22,84
57	0,010700	88433	946	87960	1950897	22,06
58	0,011670	87487	1021	86977	1862937	21,29
59	0,012730	86466	1101	85916	1775960	20,54
60	0,013890	85365	1186	84772	1690044	19,80
61	0,015180	84179	1278	83540	1605272	19,07
62	0,016630	82901	1378	82212	1521732	18,36
63	0,018240	81523	1487	80780	1439520	17,66
64	0,019990	80036	1600	79236	1358740	16,98
65	0,021840	78436	1713	77580	1279504	16,31
66	0,023740	76723	1822	75812	1201924	15,67
67	0,025700	74901	1925	73939	1126112	15,03
68	0,027650	72976	2018	71967	1052173	14,42
69	0,029660	70958	2104	69906	980206	13,81
70	0,031780	68854	2188	67760	910300	13,22
71	0,034020	66666	2268	65532	842540	12,64
72	0,036450	64398	2348	63224	777008	12,07
73	0,039100	62050	2426	60837	713784	11,50
74	0,042010	59624	2505	58372	652947	10,95
75	0,045200	57119	2581	55829	594575	10,41
76	0,048720	54538	2658	53209	538746	9,88
77	0,052630	51880	2730	50515	485537	9,36
78	0,057000	49150	2802	47749	435022	8,85
79	0,061870	46348	2867	44915	387273	8,36
80	0,067380	43481	2930	42016	342358	7,87
81	0,073660	40551	2987	39058	300342	7,41
82	0,080890	37564	3039	36045	261284	6,96
83	0,089180	34525	3079	32986	225239	6,52
84	0,098600	31446	3100	29896	192253	6,11
85	0,109050	28346	3091	26801	162357	5,73
86	0,120370	25255	3040	23735	135556	5,37
87	0,132290	22215	2939	20746	111821	5,03

88	0,144600	19276	2788	17882	91075	4,72
89	0,157230	16488	2592	15192	73193	4,44
90	0,170180	13896	2365	12714	58001	4,17
91	0,183540	11531	2117	10473	45287	3,93
92	0,197360	9414	1858	8485	34814	3,70
93	0,211710	7556	1600	6756	26329	3,48
94	0,226520	5956	1349	5282	19573	3,29
95	0,241740	4607	1114	4050	14291	3,10
96	0,257290	3493	899	3044	10241	2,93
97	0,273110	2594	708	2240	7197	2,77
98	0,289110	1886	546	1613	4957	2,63
99	0,305190	1340	409	1136	3344	2,50
100	0,321270	931	299	782	2208	2,37

Tab. 90 Tablica trwania życia w 2024 r. - kobiety

Wiek	Prawdopo- bieństwo zgonu	Liczba dożywających	Liczba zmarłych	Ludność stacjonarna		Przeciętne dalsze trwanie życia
				w wieku x	skumulowana	
x	q _x	l _x	d _x	L _x	T _x	e _x
Kobiety ogółem						
0	0,00298	100000	298	99732	8225963	82,26
1	0,00024	99702	24	99690	8126231	81,51
2	0,00018	99678	18	99669	8026541	80,52
3	0,00014	99660	14	99653	7926872	79,54
4	0,00011	99646	11	99641	7827219	78,55
5	0,00008	99635	8	99631	7727578	77,56
6	0,00007	99627	7	99624	7627947	76,57
7	0,00006	99620	6	99617	7528323	75,57
8	0,00006	99614	6	99611	7428706	74,57
9	0,00007	99608	7	99605	7329095	73,58
10	0,00007	99601	7	99598	7229490	72,58
11	0,00008	99594	8	99590	7129892	71,59
12	0,00010	99586	10	99581	7030302	70,60
13	0,00012	99576	12	99570	6930721	69,60
14	0,00014	99564	14	99557	6831151	68,61
15	0,00016	99550	16	99542	6731594	67,62
16	0,00019	99534	19	99525	6632052	66,63
17	0,00022	99515	22	99504	6532527	65,64
18	0,00024	99493	24	99481	6433023	64,66
19	0,00025	99469	24	99457	6333542	63,67
20	0,00026	99445	26	99432	6234085	62,69
21	0,00026	99419	26	99406	6134653	61,71
22	0,00025	99393	25	99381	6035247	60,72
23	0,00025	99368	25	99356	5935866	59,74
24	0,00025	99343	25	99331	5836510	58,75
25	0,00025	99318	24	99306	5737179	57,77
26	0,00026	99294	26	99281	5637873	56,78
27	0,00027	99268	27	99255	5538592	55,79

28	0,00029	99241	29	99227	5439337	54,81
29	0,00032	99212	32	99196	5340110	53,83
30	0,00035	99180	34	99163	5240914	52,84
31	0,00038	99146	38	99127	5141751	51,86
32	0,00042	99108	42	99087	5042624	50,88
33	0,00046	99066	45	99044	4943537	49,90
34	0,00051	99021	51	98996	4844493	48,92
35	0,00056	98970	55	98943	4745497	47,95
36	0,00061	98915	60	98885	4646554	46,98
37	0,00066	98855	66	98822	4547669	46,00
38	0,00072	98789	71	98754	4448847	45,03
39	0,00077	98718	76	98680	4350093	44,07
40	0,00084	98642	83	98601	4251413	43,10
41	0,00091	98559	89	98515	4152812	42,14
42	0,00099	98470	98	98421	4054297	41,17
43	0,00107	98372	105	98320	3955876	40,21
44	0,00118	98267	116	98209	3857556	39,26
45	0,00129	98151	127	98088	3759347	38,30
46	0,00142	98024	139	97955	3661259	37,35
47	0,00155	97885	152	97809	3563304	36,40
48	0,00170	97733	166	97650	3465495	35,46
49	0,00187	97567	182	97476	3367845	34,52
50	0,00204	97385	199	97286	3270369	33,58
51	0,00224	97186	218	97077	3173083	32,65
52	0,00247	96968	239	96849	3076006	31,72
53	0,00272	96729	263	96598	2979157	30,80
54	0,00301	96466	291	96321	2882559	29,88
55	0,00332	96175	319	96016	2786238	28,97
56	0,00369	95856	354	95679	2690222	28,07
57	0,00410	95502	391	95307	2594543	27,17
58	0,00455	95111	433	94895	2499236	26,28
59	0,00506	94678	479	94439	2404341	25,39
60	0,00563	94199	530	93934	2309902	24,52
61	0,00628	93669	589	93375	2215968	23,66
62	0,00699	93080	650	92755	2122593	22,80
63	0,00777	92430	718	92071	2029838	21,96
64	0,00861	91712	790	91317	1937767	21,13
65	0,00950	90922	864	90490	1846450	20,31
66	0,01046	90058	942	89587	1755960	19,50
67	0,01146	89116	1021	88606	1666373	18,70
68	0,01257	88095	1107	87542	1577767	17,91
69	0,01377	86988	1198	86389	1490225	17,13
70	0,01514	85790	1299	85141	1403836	16,36
71	0,01669	84491	1410	83786	1318695	15,61
72	0,01843	83081	1531	82316	1234909	14,86
73	0,02039	81550	1663	80719	1152593	14,13
74	0,02261	79887	1807	78984	1071874	13,42
75	0,02508	78080	1958	77101	992890	12,72
76	0,02785	76122	2120	75062	915789	12,03
77	0,03093	74002	2289	72858	840727	11,36
78	0,03440	71713	2467	70480	767869	10,71
79	0,03829	69246	2651	67921	697389	10,07

80	0,04275	66595	2847	65172	629468	9,45
81	0,04789	63748	3053	62222	564296	8,85
82	0,05392	60695	3273	59059	502074	8,27
83	0,06100	57422	3503	55671	443015	7,72
84	0,06927	53919	3735	52052	387344	7,18
85	0,07873	50184	3951	48209	335292	6,68
86	0,08936	46233	4131	44168	287083	6,21
87	0,10100	42102	4252	39976	242915	5,77
88	0,11346	37850	4295	35703	202939	5,36
89	0,12668	33555	4251	31430	167236	4,98
90	0,14068	29304	4122	27243	135806	4,63
91	0,15545	25182	3915	23225	108563	4,31
92	0,17105	21267	3638	19448	85338	4,01
93	0,18751	17629	3305	15977	65890	3,74
94	0,20475	14324	2933	12858	49913	3,48
95	0,22266	11391	2537	10123	37055	3,25
96	0,24111	8854	2135	7787	26932	3,04
97	0,25997	6719	1747	5846	19145	2,85
98	0,27907	4972	1387	4279	13299	2,67
99	0,29826	3585	1070	3050	9020	2,52
100	0,31737	2515	798	2116	5970	2,37

Spis rysunków

[REDACTED]	21
[REDACTED]	36
[REDACTED]	38
[REDACTED]	39
[REDACTED]	40
[REDACTED]	41
[REDACTED]	42
[REDACTED]	43
[REDACTED]	44
[REDACTED]	45
[REDACTED]	46
[REDACTED]	47
[REDACTED]	48
[REDACTED]	49
[REDACTED]	50
[REDACTED]	51
[REDACTED]	52
[REDACTED]	53
[REDACTED]	54
[REDACTED]	55

	58
	59
Rys. 23. Dopasowanie funkcji parametrycznych do danych dotyczących przerwania leczenia z powodów innych niż zgon w ramieniu wutrisyranu w skojarzeniu z tafamidisem w badaniu HELIOS-B.....	60
	61
	62
	63
	64
Rys. 28. Wykres tornado dla ICUR w porównaniu wutrisyranu z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant bez RSS	113
Rys. 29. Wykres tornado dla ICUR w porównaniu wutrisyranu z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant z RSS	113
Rys. 30. Wykres rozrzutu dla porównania terapii wutrisyranem z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant bez RSS.	114
Rys. 31. Wykres rozrzutu dla porównania terapii wutrisyranem z tafamidisem w populacji pacjentów z ATTR-CM w I lub II klasie NYHA – wariant z RSS	114
Rys. 32. Selekcja badań włączonych do przeglądu systematycznego analiz ekonomicznych (diagram PRISMA).	121
Rys. 33. Selekcja badań włączonych do przeglądu systematycznego użyteczności (diagram PRISMA).	128

Spis tabel

Tab. 1. Wnioskowana cena leku Amvuttra® bez RSS.....	12
Tab. 2. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.	13
Tab. 3. Wyliczenie ceny efektywnej leku Amvuttra® w wariancie z RSS.....	13
[REDACTED]	17
[REDACTED]	19
[REDACTED]	24
[REDACTED]	26
[REDACTED]	27
[REDACTED]	28
[REDACTED]	29
[REDACTED]	31
[REDACTED]	32
[REDACTED]	33
[REDACTED]	34
[REDACTED]	38
[REDACTED]	40
[REDACTED]	42
[REDACTED]	44
[REDACTED]	47

[REDACTED]	49
[REDACTED]	52
[REDACTED]	54
[REDACTED]	56
[REDACTED]	58
[REDACTED]	60
[REDACTED]	62
[REDACTED]	65
[REDACTED]	66
[REDACTED]	67
[REDACTED]	67
[REDACTED]	68
[REDACTED]	68
[REDACTED]	69
[REDACTED]	70
[REDACTED]	71
[REDACTED]	71
[REDACTED]	73
[REDACTED]	74
[REDACTED]	75
Tab. 40. Wnioskowana cena leku Amvuttra® w wariacie bez RSS.	77
Tab. 41 [REDACTED]	77

Tab. 42. Koszty podania pierwszej dawki leku.....	78
Tab. 43. Koszt tafamidisu.....	78
Tab. 44 Podsumowanie kosztów BSC	80
Tab. 45 Koszt leczenia zapalenia kości i stawów	80
Tab. 46 Koszt leczenia zapalenia płuc	81
Tab. 47 Koszt leczenia ostrego uszkodzenia nerek.....	81
Tab. 48 Koszt leczenia omdlenia	81
Tab. 49 Koszt leczenia bólu w klatce piersiowej	81
Tab. 50. Koszt cewnikowania.	82
Tab. 51 Koszt leczenia migotania i trzepotania przedsionków	83
Tab. 52 Koszt leczenia częstoskurczu komorowego.....	84
Tab. 53. Koszt diagnostyki i monitorowania w programie lekowym B.162.	86
Tab. 54. Koszt echokardiografii.	87
Tab. 55. Koszt konsultacji specjalistycznej w zakresie kardiologii.	87
Tab. 56. Koszt wizyty pielęgniarki.....	88
Tab. 57. Koszt konsultacji specjalistycznej w zakresie neurologii.....	88
Tab. 58. Koszt konsultacji lekarza POZ.	88
Tab. 59. Koszt badań diagnostycznych wykonywanych w ramach kwalifikacji pacjentów do PL.....	89
Tab. 60 Koszt hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych	90
Tab. 61 Koszt nagłej niewydolności serca	90
Tab. 62. Koszt przeszczepienia serca.	91
.....	92
.....	92
Tab. 65. Koszt EOL.....	92
Tab. 66. Zestawienie podstawowych założeń analizy ekonomicznej.	93
Tab. 67. Zestawienie założeń w wariancie podstawowym analizy ekonomicznej.	93
Tab. 68. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta w klasach I-II NYHA.....	99
Tab. 69. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta w klasie III NYHA.....	100
Tab. 70. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasy I-II NYHA).	101
Tab. 71. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasa III NYHA).	102
Tab. 72. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasy I-II NYHA).	104
Tab. 73. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta przy założeniu (klasa III NYHA).	105

Tab. 74. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (klasy I-II NYHA).....	106
Tab. 75. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (klasa III NYHA).	107
Tab. 76. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (klasy I-II NYHA).	108
Tab. 77. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (klasa III NYHA).	109
Tab. 78. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED] (klasy I-II NYHA).	110
Tab. 79. Koszty inkrementalne i ICUR na jednego pacjenta [REDACTED] [REDACTED]	112
Tab. 80. Strategia wyszukiwania bazy Medline (PubMed) – data ostatniego przeszukiwania: 14.04.2026 r.	119
Tab. 81. Strategia wyszukiwania bazy The Cochrane Library – data ostatniego przeszukiwania: 14.04.2026 r.	119
Tab. 82. Lista prac włączonych w przeglądzie analiz ekonomicznych.	122
Tab. 83. Zdyskontowane wyniki analizy podstawowej dla leczenia stabilizatorem transtyretyny w połączeniu z BSC w porównaniu do BSC.	123
Tab. 84. Inkrementalne współczynniki efektywności kosztowej dla scenariusza podstawowego.	123
Tab. 85. Wartości ICUR oszacowane w analizie Aimo 2025.	125
Tab. 86. Strategia przeszukiwania bazy Medline (PubMed) – data ostatniego przeszukania: 14.04.2026 r.	126
Tab. 87. Wykaz prac włączonych do przeglądu użyteczności.	129
Tab. 88. Wartość użyteczności wg klasy NYHA z badania Eldhagan 2023.	129
[REDACTED]	130
[REDACTED]	132
[REDACTED]	135
[REDACTED]	135
[REDACTED]	135

Bibliografia

- 103/2025/DSOZ** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 103/2025/DSOZ zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna.
Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43723/Zarządzenie-103_2025_DSOZ
Ostatni dostęp: 22.04.2026
- 22/2025/DSOZ** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 22/2025/DSOZ w sprawie warunków zawarcia i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju podstawowa opieka zdrowotna.
Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43513/Zarządzenie-22_2025_DSOZ
Ostatni dostęp: 16.10.2025
- 101/2025/DSOZ** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 101/2025/DSOZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wyspecjalistyczne.
Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43718/Zarządzenie-101_2025_DSOZ
Ostatni dostęp: 22.04.2026
- 54/2024/DSOZ** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 54/2024/DSOZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hospicyjna.
Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43217/Zarządzenie-37_2024_DSOZ
Ostatni dostęp: 16.10.2025
- 17/2026/DGL** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 17/2026/DGL zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego.
Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43780/Zarządzenie-17_2026_DGL
Ostatni dostęp: 17.04.2026
- 9/2025/DGL** Zarządzenie Prezesa NFZ nr 9/2025/DGL w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego. Dostęp online:
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43479/Zarządzenie-9_2025_DGL
Ostatni dostęp: 16.10.2025
- Acaster 2023** Acaster, S., Lo, S. H., Nestler-Parr, S. (2023). A survey exploring caregiver burden and health-related quality of life in hereditary transthyretin amyloidosis. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 18(1), 17.
- AOTMiT 2016** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Wersja 3.0, Warszawa. sierpień 2016
- AOTMiT 2025** Komunikat Prezesa AOTMiT w sprawie obowiązującej wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość
Dostęp online:
<https://www.aotm.gov.pl/aktualnosci/najnowsze/komunikat-prezesa-aotmit-w-sprawie-obowiazujacej-wysokosci-progu-kosztu-uzyskania-dodatkowego-roku-zycia-skorygowanego-o-jakosc-2/>
Ostatni dostęp: 04.11.2025
- APD Amvuttra** Amvuttra® (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza problemu decyzyjnego 2025

Asher 2022	Asher, C., Guilder, A., Finocchiaro, G., Carr-White, G., & Rodríguez-Guadarrama, Y. (2022). Healthcare resource use associated with the diagnosis of transthyretin amyloidosis cardiomyopathy. <i>Health Science Reports</i> , 5(1), e466.
Briggs 2006	Briggs, A., Sculpher, M., & Claxton, K. (2006). <i>Decision modelling for health economic evaluation</i> . Oup Oxford.
Briggs 2012	Briggs, A. H., Weinstein, M. C., Fenwick, E. A., Karnon, J., Sculpher, M. J., Paltiel, A. D., & ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force. (2012). Model parameter estimation and uncertainty: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force-6. <i>Value in Health</i> , 15(6), 835-842.
CDA Tafamidis	Canada's Drug Agency (CDA). Tafamidis. 2020.
Cheng 2020	Cheng, R. K., Levy, W. C., Vasbinder, A., Teruya, S., De Los Santos, J., Leedy, D., & Maurer, M. S. (2020). Diuretic dose and NYHA functional class are independent predictors of mortality in patients with transthyretin cardiac amyloidosis. <i>Cardio Oncology</i> , 2(3), 414-424.
Damy 2022	Damy, T., Adams, D., Bridoux, F., Grateau, G., Planté-Bordeneuve, V., Ghiron, Y., & Georgin-Lavialle, S. (2022). Amyloidosis from the patient perspective: the French daily impact of amyloidosis study. <i>Amyloid</i> , 29(3), 165-174.
Duca 2019	Duca, F., Aschauer, S., Zotter-Tufaro, C., Binder, C., Kammerlander, A. A., Böries, B., ... & Bonderman, D. (2019). Riociguat for the treatment of transthyretin cardiac amyloidosis: data from a named patient use program in Austria. <i>Pulmonary Circulation</i> , 9(4), 2045894019849394.
Dzierżanowski 2020	Dzierżanowski T. Accessibility of palliative care for adults in Poland. <i>Medycyna Paliatywna/Palliative Medicine</i> . 2020;12(2):75-83.
Elbasha 2016	Elbasha, E. H., & Chhatwal, J. (2016). Theoretical foundations and practical applications of within-cycle correction methods. <i>Medical Decision Making</i> , 36(1), 115-131.
Eldhagan 2023	Eldhagen, P., Lehtonen, J., Gude, E., Gustafsson, F., Bagger-Bahnsen, A., Vakevainen, M., Nordic PROACT study group. (2023). Health-related quality of life among transthyretin amyloid cardiomyopathy patients. <i>ESC heart failure</i> , 10(3), 1871-1882.
Fontana 2025	Fontana, M., Berk, J. L., Gillmore, J. D., Witteles, R. M., Grogan, M., Drachman, B., ... & Maurer, M. S. (2025). Vutrisiran in patients with transthyretin amyloidosis with cardiomyopathy. <i>New England Journal of Medicine</i> , 392(1), 33-44.
Garcia-Pavia 2021	Garcia-Pavia, P., Bengel, F., Brito, D., Damy, T., Duca, F., Dorbala, S., Elliott, P. M. (2021). Expert consensus on the monitoring of transthyretin amyloid cardiomyopathy. <i>European journal of heart failure</i> , 23(6), 895-905.
Gillmore 2018	Gillmore, J. D., Damy, T., Fontana, M., Hutchinson, M., Lachmann, H. J., Martinez-Naharro, A., ... & Hawkins, P. N. (2018). A new staging system for cardiac transthyretin amyloidosis. <i>European heart journal</i> , 39(30), 2799-2806.
Gillmore 2024	Gillmore, J. D., Judge, D. P., Cappelli, F., Fontana, M., Garcia-Pavia, P., Gibbs, S., ... & Fox, J. C. (2024). Efficacy and safety of acoramidis in transthyretin amyloid cardiomyopathy. <i>New England Journal of Medicine</i> , 390(2), 132-142.
Girard 2025	Girard, A. A., & Sperry, B. W. (2025). Contextualizing the results of HELIOS-B in the broader landscape of clinical trials for the treatment of transthyretin cardiac amyloidosis. <i>Heart failure reviews</i> , 30(1), 69-73.
González-Moreno 2021	González-Moreno, J., Losada-López, I., Cisneros-Barroso, E., Garcia-Pavia, P., González-Costello, J., Muñoz-Beamud, F., ... & Amass, L. (2021). A

	descriptive analysis of ATTR amyloidosis in Spain from the Transthyretin Amyloidosis Outcomes Survey. <i>Neurology and Therapy</i> , 10(2), 833-845.
GUS 2024	Główny Urząd Statystyczny. Trwanie życia w 2024 roku. Dostęp online: https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/trwanie-zycia/trwanie-zycia-w-2024-r-,2,19.html . Data ostatniego dostępu: 23.10.2025.
HAS tafamidis	Haute Autorite de Sante (HAS). VYNDAQEL (tafamidis), 2019.
Hernandez-Alava 2022	Hernandez-Alava M, Pudney S, Wailoo A. Estimating EQ-5D by age and sex for the UK. Report by the decision support unit. 2022.
ICER 2024	Wasfy JH, Winn AN, Touchette DR, Nikitin D, Shah KK, Richardson M, Lee W, Kim S, Rind DM. Disease Modifying Therapies for the Treatment of Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy; Final Evidence Report. Institute for Clinical and Economic Review, October 21, 2024.
Ikar pro	Dostęp online: https://ikarpro.pl/pl/baza/#!/drugProgrammes/reimbursement?group_id=refundacja&id=ia&locale=pl&method=show&search_type=advanced&tryb%5B%5D=subst&obw_id_arg=80&szukane%5B%5D=Tafamidisum& , Data ostatniego dostępu: 23.10.2025
Informator o umowach	Informator o umowach NFZ. Dostęp online: https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search?Year=2023&Branch=02 . Data ostatniego dostępu: 14.10.2025.
Kittleson 2023	Kittleson, M. M., Ruberg, F. L., Ambardekar, A. V., Brannagan, T. H., Cheng, R. K., Clarke, J. O., ... & Sheikh, F. H. (2023). 2023 ACC expert consensus decision pathway on comprehensive multidisciplinary care for the patient with cardiac amyloidosis: a report of the American College of Cardiology Solution Set Oversight Committee. <i>Journal of the American College of Cardiology</i> , 81(11), 1076-1126.
Latimer 2013	Latimer, N. R. (2013). Survival analysis for economic evaluations alongside clinical trials—extrapolation with patient-level data: inconsistencies, limitations, and a practical guide. <i>Medical Decision Making</i> , 33(6), 743-754.
Latimer 2013 DSU	Latimer N. R., NICE Decision Support Unit (DSU). Nice DSU technical support document 14: survival analysis for economic evaluations alongside clinical trials - extrapolation with patient-level data. 2013.
Maurer 2016	Maurer, M. S., Hanna, M., Grogan, M., Dispenzieri, A., Witteles, R., Drachman, B., THAOS investigators. (2016). Genotype and phenotype of transthyretin cardiac amyloidosis: THAOS (Transthyretin Amyloid Outcome Survey). <i>Journal of the American College of Cardiology</i> , 68(2), 161-172.
Maurer 2018	Maurer, M. S., Schwartz, J. H., Gundapaneni, B., Elliott, P. M., Merlini, G., Waddington-Cruz, M., ... & Rapezzi, C. (2018). Tafamidis treatment for patients with transthyretin amyloid cardiomyopathy. <i>New England Journal of Medicine</i> , 379(11), 1007-1016.
Maurer 2019	Maurer, M. S., Bokhari, S., Damy, T., Dorbala, S., Drachman, B. M., Fontana, M., ... & Merlini, G. (2019). Expert consensus recommendations for the suspicion and diagnosis of transthyretin cardiac amyloidosis. <i>Circulation: Heart Failure</i> , 12(9), e006075.
McEwan 2021	McEwan, P., Ponikowski, P., Davis, J. A., Rosano, G., Coats, A. J., Dorigotti, F., Jankowska, E. A. (2021). Ferric carboxymaltose for the treatment of iron deficiency in heart failure: a multinational cost-effectiveness analysis utilising AFFIRM-AHF. <i>European journal of heart failure</i> , 23(10), 1687-1697.
MZ 2025	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 19 marca 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2025 r.

Nativi-Nicolau 2021	Nativi-Nicolau, J., Judge, D. P., Hoffman, J. E., Gundapaneni, B., Keohane, D., Sultan, M. B., & Grogan, M. (2021). Natural history and progression of transthyretin amyloid cardiomyopathy: insights from ATTR-ACT. <i>ESC Heart Failure</i> , 8(5), 3875-3884.
NICE 2021	National Institute for Health and Care Excellence. (2021). Dapagliflozin for treating chronic heart failure with reduced ejection fraction (TA679).
NICE Patisiran	National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Patisiran for treating hereditary transthyretin amyloidosis (HST10), 2019.
NICE Tafamidis	National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Tafamidis for treating transthyretin amyloidosis with cardiomyopathy (TA984). 2024.
Obwieszczenie 2026	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.
PBAC Tafamidis	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC). Public Summary Document. 7.07 Tafamidis, 2023.
Poledniczek 2024	Poledniczek, M., Kronberger, C., Willixhofer, R., Ermolaev, N., Cherouny, B., Dachs, T. M., & Badr Eslam, R. (2024). Health-related quality of life is an independent predictor of mortality and hospitalisations in transthyretin amyloid cardiomyopathy: a prospective cohort study. <i>Quality of Life Research</i> , 33(10), 2743-2753.
Porcari 2024	Porcari, A., Cappelli, F., Nitsche, C., Tomasoni, D., Sinigiani, G., Longhi, S., ... & Fontana, M. (2024). SGLT2 inhibitor therapy in patients with transthyretin amyloid cardiomyopathy. <i>Journal of the American College of Cardiology</i> , 83(24), 2411-2422.
Rozporządzenie MZ 2023	Rozporządzenie z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Rutherford 2020	Rutherford MJ, Lambert PC, Sweeting MJ, et al. NICE DSU Technical Support Document 21: flexible methods for survival analysis 2020.
SMC Tafamidis	Scottish Medicines Consortium (SMC). Tafamidis 61mg soft capsules (Vyndaqel; SMC2585). 2023
Soares 2024	Soares, M., Colson, A., Bojke, L., Ghabri, S., Garay, O. U., Felli, J. K., ... & IJzerman, M. J. (2024). Recommendations on the use of structured expert elicitation protocols for healthcare decision making: a good practices report of an ISPOR task force. <i>Value in Health</i> , 27(11), 1469-1478.
Statystyki NFZ	Statystyki Narodowego Funduszu Zdrowia. Dostęp online: https://statystyki.nfz.gov.pl/Benefits/1a . Data ostatniego dostępu: 17.10.2025.
TLV tafamidis	The Swedish Dental and Pharmaceutical Benefits Agency (Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket T. Vyndaqel (tafamidis). 2020.
WT.543.4.2025	Raport w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r. poz. 2139) Dostęp online: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/091/REK/Raport%20WT.543.4.2025.pdf Data ostatniego dostępu: 16.10.2025

