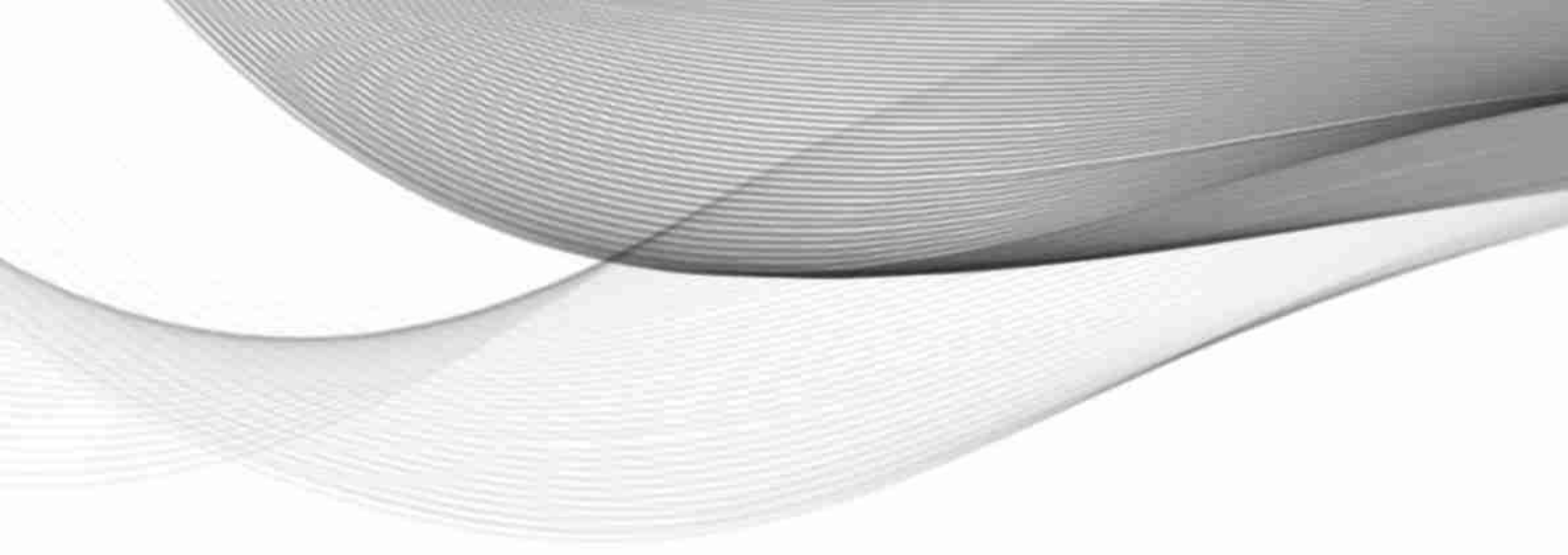




Amvuttra[®] (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, 2026

Autorzy

[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>

Zamawiający

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

Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów	4
Streszczenie	5
1 Wprowadzenie	7
1.1 Cel analizy.....	7
1.2 Perspektywa.....	7
1.3 Horyzont czasowy i dyskontowanie	7
1.4 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka	7
2 Metodyka analizy	9
2.1 Źródła danych.....	9
2.2 Populacja.....	9
2.2.1 Pacjenci, u których wnioskowana technologia może być stosowana.....	10
2.2.2 Populacja docelowa zgodna z wnioskiem	12
2.2.3 Liczebność populacji, u której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	12
2.2.4 Populacja docelowa uwzględniona w analizie wpływu na budżet	12
2.2.5 Podsumowanie szacunków liczebności populacji	21
2.3 Scenariusze porównywane	21
2.3.1 Scenariusz istniejący.....	21
2.3.2 Scenariusz nowy	26
2.4 Analizowane koszty	26
2.4.1 Koszt substancji	26
2.4.2 Koszt podania leku	28
2.4.1 Koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby.....	29
2.4.2 Koszt leczenia objawowego (terapii podtrzymującej)	30
2.4.3 Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych.....	32
2.4.4 Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych.....	34
2.4.5 Podsumowanie analizowanych kosztów	35
2.5 Zakres analizy wrażliwości.....	36
2.5.1 Scenariusz A – wariant minimalny.....	36
2.5.2 Scenariusz B – wariant maksymalny.....	38
2.5.3 Scenariusz C.....	40
2.5.4 Zestawienie parametrów analizy wrażliwości i wariantu podstawowego.....	42
3 Wyniki analizy wpływu na budżet.....	44
3.1 Aktualne roczne wydatki NFZ.....	44
3.2 Wariant podstawowy.....	44
3.3 Analiza wrażliwości	48
3.3.1 Scenariusz A – wariant minimalny.....	48
3.3.2 Scenariusz B – wariant maksymalny.....	52

3.3.3	Scenariusz C.....	56
3.4	Podsumowanie wyników analizy wpływu na budżet.....	59
4	Aspekty etyczne, społeczne, prawne oraz wpływ decyzji na organizację udzielania świadczeń	61
5	Dyskusja wyników i ograniczeń.....	62
6	Wnioski końcowe	64
7	Aneks 1: Program lekowy	65
8	Aneks 2: Ankieta ekspercka	75
	Spis rysunków.....	78
	Spis tabel	79
	Bibliografia	82

Wykaz skrótów i akronimów

AKL	analiza kliniczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ATTR-CM	kardiomiopatia w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ang. <i>transthyretin amyloid cardiomyopathy</i>)
ATTRh	dziedziczna amyloidozą transtyretynową (ang. <i>hereditary transthyretin amyloidosis</i> ;
ATTRm	<i>mutant transthyretin amyloidosis</i> ;
ATTRv	<i>variant transthyretin amyloidosis</i>)
ATTR-PN	polineuropatia w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ang. <i>transthyretin amyloidosis with polyneuropathy</i>)
BSC	najlepsza opieka podtrzymująca (ang. <i>best supportive care</i>)
CH	cena hurtowa
CHB	cena hurtowa brutto
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CZN	cena zbytu netto
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NYHA	skala zaproponowana przez Nowojorskie Towarzystwo Kardiologiczne służąca do klasyfikacji ciężkości objawów niewydolności serca (<i>New York Heart Association</i>)
PL	program lekowy
PLN	polski złoty
RDTL	Ratunkowy Dostęp do Technologii Leczniczych
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)

Streszczenie

Cel opracowania

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Amvuttra® (substancja czynna wutrisyran) finansowaniem w ramach programu lekowego B. 162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)” na wydatki płatnika publicznego w Polsce (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ).

Metodyka

Analizę, zgodnie z obowiązującymi przepisami, wykonano z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) oraz z perspektywy wspólnej tego podmiotu i świadczeniobiorcy (pacjenta). Analizę przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego podyktowanego okresem obowiązywania decyzji o refundacji. W analizie uwzględniono koszty leku i jego podania, koszty najlepszej opieki podtrzymującej, koszty diagnostyki i monitorowania przebiegu choroby, koszty zdarzeń sercowo-naczyniowych oraz koszty leczenia zdarzeń niepożądanych.

W scenariuszu istniejącym przyjęto brak refundacji leku Amvuttra® w analizowanym wskazaniu. W scenariuszu nowym założono objęcie refundacją preparatu Amvuttra® w ramach programu lekowego, zgodnie z kryteriami proponowanymi przez Zleceniodawcę. Wielkość populacji docelowej, tj. pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) w klasach czynnościowych NYHA I-III, oszacowano na podstawie danych sprawozdawczych i literaturowych.

Dane do wyznaczenia kosztów uwzględnionych w niniejszej analizie zaczerpnięto z zarządzeń Prezesa NFZ i Obwieszczeń MZ, a także z innych źródeł literaturowych.

Wyniki

W poniższych tabelach przedstawiono podsumowanie oszacowań liczebności populacji oraz zestawienie kosztów inkrementalnych w każdym z wariantów.

	Wariant podstawowy		Scenariusz A		Scenariusz B		Scenariusz C	
	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis
Scenariusz nowy								
I rok	■	■	■	■	■	■	■	■
II rok	■	■	■	■	■	■	■	■
Łącznie	■	■	■	■	■	■	■	■
Scenariusz istniejący								
I rok	■	■	■	■	■	■	■	■
II rok	■	■	■	■	■	■	■	■
Łącznie	■	■	■	■	■	■	■	■

^a Wutrisyran w scenariuszu nowym, BSC w scenariuszu istniejącym.

PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka

Przeprowadzona analiza wykazała, że pozytywna decyzja o objęciu produktu leczniczego Amvuttra® finansowaniem w ramach programu lekowego B. 162. zwiększy całkowite wydatki ponoszone przez płatnika oraz płatnika i świadczeniobiorcę, zarówno w pierwszym, jak i w drugim roku analizy.

6

1 Wprowadzenie

1.1 Cel analizy

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Amvuttra® (substancja czynna wutrisyran) finansowaniem w ramach programu lekowego (PL) B. 162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)” na wydatki płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) oraz wydatki wspólne – płatnika publicznego i świadczeniobiorców w Polsce.

Zgodnie z obowiązującymi warunkami włączenia do PL B. 162., leczeniem aktywnym objęci są wyłącznie pacjenci z ATTR-CM w klasach czynnościowych NYHA I-II. Zlecniodawca wniośkuje o uwzględnienie leku Amvuttra® jako jednej z opcji terapeutycznych w programie lekowym, przy równoczesnym rozszerzeniu kryteriów kwalifikacji do terapii wutrisyranem o możliwość leczenia pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III.

W niniejszej analizie uwzględniono finansowanie następującej prezentacji leku: Amvuttra®, 25 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce.

1.2 Perspektywa

Analizę wpływu na budżet, zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2023] oraz wytycznymi AOTMiT [AOTMiT 2016], przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (NFZ i pacjent).

1.3 Horyzont czasowy i dyskontowanie

Analizę, zgodnie z wytycznymi AOTMiT [AOTMiT 2016], przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego, podyktowanego okresem obowiązywania pierwszej decyzji o refundacji. Nie przeprowadzono dyskontowania kosztów, ponieważ analiza wpływu na budżet ma na celu przedstawienie przepływów środków finansowych w czasie wystąpienia tych przepływów, a nie obliczenie ich bieżącej wartości.

1.4 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka

Opis ceny przedmiotowej technologii oraz ceny uwzględniającej mechanizm dzielenia ryzyka zawarto w rozdziale 1.7 analizy ekonomicznej [AE Amvuttra 2025]. Poniżej przedstawiono najważniejsze tabelaryczne zestawienie cen rozważanego leku dla wersji bez mechanizmu dzielenia ryzyka (ang. *risk sharing scheme*; RSS, Tab. 1) oraz z RSS (Tab. 3).

Tab. 1. Ceny leku – wariant bez RSS.

Zawartość opakowania	[1] CZN, PLN	[2] CH, PLN	[3] CHB, PLN	[4] WLF, PLN
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.

Parametr	Wartość
Z RSS	

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

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

2 Metodyka analizy

2.1 Źródła danych

W celu oszacowania liczebności populacji docelowej, kwalifikującej się do terapii wutrisyranem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet, wykorzystano dane z protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Kardiomiopatii. Szczegółowe uzasadnienie doboru źródeł oraz opis metodyki oszacowania przedstawiono w dalszej części niniejszego rozdziału.

Do oszacowania kosztów wykorzystano następujące źródła:

- Opracowanie nr WT.543.4.2025,
- Zarządzenie 72/2025/DGL,
- Obwieszczenia 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.,
- Raport refundacyjny za okres styczeń-grudzień 2025 r.,
- Statystyki NFZ,
- Informator o umowach,
- Zarządzenie 132/2024/DSOZ.

Ponadto wykorzystano dane literaturowe określające strukturę zużycia zasobów oraz częstość występowania analizowanych zdarzeń. Szczegóły dotyczące danych kosztowych przedstawiono w rozdziale 2.4.

2.2 Populacja

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ z dnia 24 października 2023 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 [Rozporządzenie MZ 2023], oprócz oszacowania wpływu finansowania analizowanej technologii na wydatki płatnika i pacjenta, należy oszacować:

- liczbę wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana,
- populację pacjentów, wskazaną we wniosku,
- liczbę pacjentów, u których technologia jest obecnie stosowana.

Poniżej przedstawiono odpowiednie szacunki.

2.2.1 Pacjenci, u których wnioskowana technologia może być stosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) [ChPL Amvuttra], produkt leczniczy Amvuttra® (wutrisyran) zarejestrowany jest do stosowania:

- w leczeniu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej u dorosłych pacjentów z polineuropatią (ang. *hereditary transthyretin amyloidosis with polyneuropathy*, hATTR-PN) w I lub II stadium zaawansowania;
- w leczeniu amyloidozy transtyretynowej typu dzikiego lub dziedzicznej u dorosłych pacjentów z kardiomiopatią (ang. *transthyretin amyloid cardiomyopathy*, ATTR-CM).

2.2.1.1 ATTR-PN

Oszacowanie liczebności populacji pacjentów z amyloidozą transtyretynową przebiegającą z polineuropatią oparto na pracy Schmidt 2018. W opracowaniu dokonano systematycznego przeglądu literatury, w celu oszacowania globalnej częstości występowania dziedzicznej postaci ATTR-PN. Przeprowadzono syntezę danych epidemiologicznych pochodzących z krajów endemicznych oraz ekstrapolację danych, w celu estymacji chorobowości w krajach, w których odnotowano przypadki ATTR-PN, ale nie opublikowano szacunków dotyczących częstości jej występowania. Chorobowość dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej o fenotypie neurologicznym w Polsce oszacowano na od 12 do 286 przypadków.

Przedstawione powyżej oszacowania dotyczą ogółu pacjentów chorujących na ATTR-PN. W celu uwzględnienia podziału ze względu na stadium choroby, wykorzystano dane przedstawione w publikacjach Coelho 2023 oraz Adams 2022. W wymienionych pracach przedstawiono charakterystyki populacji docelowych w badaniach NEURO-TTRansform oraz HELIOS-A, w tym dane dla zewnętrznego ramienia placebo w badaniu APOLLO. Badania te dotyczyły skuteczności i bezpieczeństwa terapii ukierunkowanych wykorzystywanych w leczeniu ATTR-PN. W poniższej tabeli przedstawiono informacje dotyczące rozkładu stopnia zaawansowania ocenianego przy pomocy skali PND, wyekstrahowane z wymienionych opracowań. Odsetek pacjentów w stadium I lub II, oszacowany na podstawie odnalezionych danych, wyniósł 75,2%.

Po uwzględnieniu odsetka pacjentów w I i II stadium zaawansowania polineuropatii w oszacowaniach chorobowości, uzyskano liczebność populacji pacjentów z ATTRh-PN równą **od 9 do 215 osób**.

Tab. 4. Rozkład stopnia zaawansowania polineuropatii w badaniach NEURO-TTRansform, APOLLO i HELIOS-A [Coelho 2023, Adams 2022].

Badanie	NEURO-TTRansform	APOLLO	HELIOS-A		Łącznie
Lek	Eplontersen	Placebo	Wutrisyran	Patisyran	—
Łączna liczba uczestników	167	76	122	42	407
PND, n (%)					
I	68 (40,5)	20 (26,0)	44 (36,1)	15 (35,7)	147 (36,1)
II	69 (41,1)	23 (29,9)	50 (41,0)	17 (40,5)	159 (39,1)
IIIA	19 (11,3)	22 (28,6)	16 (13,1)	7 (16,7)	64 (15,7)

IIIB	11 (6,5)	11 (14,3)	12 (9,8)	3 (7,1)	37 (9,1)
------	----------	-----------	----------	---------	----------

2.2.1.2 ATTR-CM

Liczebność populacji pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej oszacowano na podstawie danych przedstawionych w publikacji Delgado 2025. W ramach przytaczanej pracy przeprowadzono systematyczny przegląd literatury z okresu od stycznia 2018 do kwietnia 2023 roku. Do analizy włączano badania dotyczące częstości występowania, zapadalności oraz wskaźników śmiertelności w populacji chorych z ATTR (typ dziki i dziedziczny, fenotyp kardiologiczny, neurologiczny lub mieszany). Z uwagi na ograniczoną dostępność danych dotyczących częstości występowania ATTR przebiegającej z polineuropatią, w niniejszej analizie praca Delgado 2025 została wykorzystana wyłącznie do oszacowania liczebności populacji pacjentów z fenotypem kardiologicznym.

Zgodnie z danymi przedstawionymi w publikacji Delgado 2025, częstość występowania ATTR-CM wynosiła od 6,09 do 50,0 przypadków na milion. Przyjmując liczebność populacji w Polsce równą 36 620 970 osób¹, przekłada się to na **od 223 do 1 831 chorych**.

Tab. 5. Częstość występowania ATTR-CM [Delgado 2025].

Kraj	Populacja/źródło danych	Wielkość próby	Typ ATTR	Chorobowość/milion
Stany Zjednoczone	Populacja ogólna	-	ATTR-CM	6,09
Szwecja	Populacja ogólna	10 230 185*	ATTR-CM	50,0
Dania	Krajowy Rejestr Pacjentów	5 806 081*	ATTR-CM	14,0
Finlandia	Krajowy Rejestr Pacjentów	5 517 919*	ATTR-CM	18,0
Norwegia	Krajowy Rejestr Pacjentów	5 328 212*	ATTR-CM	37,0

*Dane dotyczą roku 2018.

2.2.1.3 Podsumowanie

W poniższej tabeli przedstawiono podsumowanie liczebności populacji polskiej, zgodnej z Charakterystyką Produktu Leczniczego.

Tab. 6. Liczebność populacji zgodnej z ChPL w Polsce.

Populacja	Liczebność
ATTR-PN	9 - 215
ATTR-CM	223 - 1 831
Łącznie	232 - 2 046

¹ Na podstawie danych EUROSTAT z roku 2024.

2.2.2 Populacja docelowa zgodna z wnioskiem

Wniosek obejmuje dorosłe osoby cierpiące na kardiomiopatię w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) w klasie czynnościowej NYHA I-III.

W związku z tym, w celu oszacowania liczebności populacji zgodnej z wnioskiem, chorobowość przedstawioną w sekcji 2.2.1.2 należało skorygować poprzez uwzględnienie rozkładu klas czynnościowych w docelowej populacji. Strukturę klas NYHA zaczerpnięto z abstraktu konferencyjnego Sobczyńska-Kilias 2023. W pracy tej przedstawiono dane demograficzne pacjentów z ATTR-CM, którzy byli leczeni tafamidisem w ramach programu rozszerzonego dostępu. W momencie przystąpienia do leczenia większość pacjentów znajdowała się w klasie NYHA II (52,65%), 36,8% w klasie NYHA III, 9,2% w klasie NYHA I i 1,3% w klasie NYHA IV. Oznacza to, że aż 98,7% chorych kwalifikowało się do klas czynnościowych I-III. Po odniesieniu tego odsetka do liczebności populacji chorych na ATTR-CM przedstawionej w rozdziale 2.2.1.2, liczebność populacji docelowej zgodnej z wnioskiem wyniosła od 220 do 1 807 osób.

2.2.3 Liczebność populacji, u której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Od kwietnia 2025 roku wutrisyran jest refundowany w Polsce 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)”.

Zgodnie z Uchwałą Nr 11/2026/V w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2025 r., do końca 2025 roku programem lekowym B.170. objętych zostało 6 pacjentów.

2.2.4 Populacja docelowa uwzględniona w analizie wpływu na budżet

Populację docelową stanowią pacjenci cierpiący na kardiomiopatię w przebiegu dziedzicznej amyloidozy transtyretynowej (ATTR-CM) w klasach czynnościowych NYHA I-III.

Jak pokazano w rozdziale 2.2.1.2, estymacje oparte na zagranicznych danych epidemiologicznych charakteryzują się wysoką rozbieżnością. Szacując liczebność docelowej populacji, należy zwrócić szczególną uwagę na aspekt ograniczeń związanych z diagnostyką ATTR-CM.

Jak wskazują dane literaturowe, w przypadku ATTR-CM zaobserwować można znaczące opóźnienie diagnostyczne, wynikające między innymi z niskiej świadomości choroby, przekonania o rzadkim występowaniu choroby, niepełnej wiedzy o tzw. „czerwonych flagach ATTR-CM” oraz wysokiej heterogeniczności i niespecyficzności objawów [Witteles 2019]. W przeglądzie systematycznym Rozenbaum 2021 wykazano, że mediana czasu od pojawienia się objawów do postawienia rozpoznania wynosiła 3,4 roku w populacji z ATTR typu dzikiego (średnia 6,1 roku) oraz od 2,6 roku w populacji z dziedzicznym wariantem choroby (średnia 5,7 roku). Dodatkowo, w jednym z analizowanych badań stwierdzono, że opóźnienie diagnostyczne wśród pacjentów z ATTRv o fenotypie dominująco kardiologicznym było dłuższe niż wśród chorych, u których obserwowano fenotyp mieszany – mediana opóźnienia wynosiła odpowiednio 53,1 i 26,2 miesiące. Ponadto, w kontekście niniejszego wniosku, zakładającego rozszerzenie kryteriów kwalifikacji o klasę NYHA III, istotna jest obserwacja, że w populacji ATTRwt-CM opóźnienie diagnostyczne wynoszące co najmniej 3 miesiące było związane z

przydzieleniem wyższej klasy NYHA w momencie rozpoznania, co wynikało bezpośrednio z wyższego zaawansowania choroby [Rozenbaum 2021].

Istotna jest również kwestia błędnych rozpoznań, dodatkowo opóźniających wdrożenie odpowiedniego schematu terapeutycznego. W przytaczanym powyżej przeglądzie systematycznym, wykazano, że niepoprawna diagnoza została postawiona 34-57% pacjentów z ATTR-CM [Rozenbaum 2021]. W badaniu ankietowym Lousada 2017, przeprowadzonym w populacji ATTR-CM, 17% respondentów zgłosiło, że przed uzyskaniem prawidłowej diagnozy odwiedziło pięciu różnych specjalistów, a ponad 50% ankietowanych z ATTRv oraz 39% chorych z ATTRwt otrzymało błędne rozpoznanie, przy czym odpowiednio 76% i 75% z nich było leczonych z powodu nieprawidłowo zdiagnozowanego schorzenia.

Biorąc pod uwagę powyższe, należy uznać, iż oszacowanie liczebności populacji docelowej na podstawie danych epidemiologicznych dotyczących chorobowości w populacji ogólnej obarczone jest wysokim ryzykiem błędu.

W poniższej tabeli zaprezentowano miesięczną liczbę pacjentów zakwalifikowanych do terapii tafamidem w okresie od października 2024 roku do kwietnia 2026 roku oraz skumulowaną liczbę chorych leczonych w ramach programu lekowego.

Tab. 7. Miesięczna liczba włączeń do programu lekowego B.162 [na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego].

Data	Liczba włączeń do programu	Skumulowana liczba pacjentów leczonych w ramach programu
Październik 2024	1	
Listopad 2024	53	
Grudzień 2024	29	
Styczeń 2025	5	
Luty 2025	9	
Marzec 2025	21	
Kwiecień 2025	4	
Maj 2025	17	
Czerwiec 2025	18	
Lipiec 2025	7	
Sierpień 2025	3	
Wrzesień 2025	15	
Październik 2025	35	
Listopad 2025	11	
Grudzień 2025	6	
Styczeń 2026	9	
Luty 2026	14	
Marzec 2026	11	
Kwiecień 2026	10	

*W listopadzie 2024 roku zarejestrowano jeden zgon.

W tabeli przedstawiono wyłącznie włączenia pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej.



Rys. 1. Zmiana liczby włączeń do programu lekowego B.162 oraz skumulowana liczba chorych leczonych tafamidisem.

Jak widać na Rys. 1, w pierwszych miesiącach refundacji zaobserwować można gwałtowny wzrost liczby pacjentów zakwalifikowanych do programu lekowego. Wynika to z włączenia chorych, którzy wcześniej korzystali z terapii tafamidisem w ramach programu wczesnego dostępu. Od początku 2025 roku do kwietnia 2026 roku miesięczna liczba włączeń charakteryzowała się wysoką zmiennością, z widocznymi okresami zwiększonej i zmniejszonej liczby kwalifikacji. W związku z tym, w bazowym wariancie analizy wpływu na budżet, podczas oszacowania miesięcznej liczby włączeń do programu w latach 2026-2027 odstępiono od ekstrapolacji bazującej na trendzie liniowym. [REDACTED]

Należy zaznaczyć, że zgodnie z obowiązującym obecnie programem lekowym, do leczenia tafamidisem kwalifikują się wyłącznie chorzy z niewydolnością serca w klasach czynnościowych NYHA I oraz II, co oznacza, że oszacowana wartość odpowiadać będzie wyłącznie włączeniom w tej podgrupie pacjentów. W ramach wniosku Zleceniodawca wnosi o rozszerzenie kryteriów kwalifikacji do terapii wutrisyranem o pacjentów w klasie czynnościowej NYHA III. [REDACTED]

Tab. 8. Miesięczna liczba włączeń w zależności od klasy NYHA.

	Klasy NYHA I i II ^a	Klasa NYHA I	Klasa NYHA II	Klasa NYHA III	Łącznie
Miesięczna liczba włączeń	■	■	■	■	■

^a Średnia liczba włączeń w okresie od stycznia 2025 do kwietnia 2026 roku.

W wyniku rozszerzenia programu lekowego B.162. pacjenci w klasach czynnościowych NYHA I i II będą mogli korzystać z jednej z dwóch opcji terapeutycznych – wutrisyranu lub tafamidisu. W celu jak najlepszego odwzorowania sytuacji klinicznej pacjentów w Polsce w niniejszej analizie, sporządzono ankietę ekspercką (rozdział 8), w której poproszono m.in. o oszacowanie udziałów w rynku wutrisyranu i tafamidisu w latach 2026-2027.

[illegible]

Tab. 9. Struktura udziałów w rynku.

Rok analizy	Klasa czynnościowa NYHA I		Klasa czynnościowa NYHA II	
	Wutrisyran	Tafamidis	Wutrisyran	Tafamidis
I (2026)				
II (2027)				

Dane uzyskane za pośrednictwem ankiety skierowanej do ekspertów klinicznych.

Tab. 10. Podsumowanie liczby pacjentów nowo zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – analiza bazowa, scenariusz nowy.

Lek	Wutrisyran			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
<i>Miesięcznie</i>					
I (2026)					
II (2027)					
<i>Rocznie</i>					
I (2026)					
II (2027)					

Suma			
I			
II			
Pełny okres analizy			

2.2.4.1 Implementacja w modelu budżetowym

1. Pacjenci nowo zdiagnozowani włączani są do leczenia w programie lekowym systematycznie przez okres dwóch lat analizy, przyjmując przy tym cykl miesięczny, zgodnie z oszacowaniami zaprezentowanymi w Tab. 10.

Tab. 11. Macierze przejść – wutrisyran.

Tab. 12. Macierze przejść – tafamidis.

Country	Region	Year	Population (millions)	GDP (billion USD)	Urban population (millions)	Life expectancy (years)	Infant mortality (per 1,000 live births)	Healthcare expenditure (billion USD)	Healthcare workers (thousands)
United States	North America	2023	332	25.6	285	77	7.1	1,200	1,200
Canada	North America	2023	38	2.1	35	82	5.5	150	150
Mexico	North America	2023	128	1.5	95	74	15.2	100	100
Brazil	South America	2023	215	1.8	165	74	15.2	100	100
Argentina	South America	2023	45	0.5	35	75	10.5	50	50
Chile	South America	2023	19	0.3	15	77	8.5	30	30
Colombia	South America	2023	51	0.4	40	75	12.5	40	40
Venezuela	South America	2023	28	0.2	20	72	18.5	20	20
Peru	South America	2023	34	0.3	25	75	12.5	30	30
Ecuador	South America	2023	17	0.2	12	75	12.5	20	20
Bolivia	South America	2023	11	0.1	8	73	15.2	10	10
Paraguay	South America	2023	7	0.1	5	75	10.5	5	5
Uruguay	South America	2023	3.5	0.1	2.5	77	8.5	2	2
Costa Rica	Central America	2023	5	0.1	4	76	10.5	1	1
Panama	Central America	2023	4	0.1	3	77	8.5	1	1
Nicaragua	Central America	2023	6.5	0.05	5	73	15.2	0.5	0.5
Honduras	Central America	2023	9.5	0.05	7	72	18.5	0.5	0.5
Guatemala	Central America	2023	17	0.05	12	72	18.5	0.5	0.5
El Salvador	Central America	2023	6.5	0.05	5	72	18.5	0.5	0.5
Belize	Central America	2023	0.5	0.01	0.4	75	10.5	0.05	0.05
Jamaica	Caribbean	2023	1.1	0.01	0.8	75	10.5	0.05	0.05
Trinidad and Tobago	Caribbean	2023	1.3	0.01	1.0	75	10.5	0.05	0.05
Grenada	Caribbean	2023	0.1	0.001	0.08	75	10.5	0.005	0.005
Barbados	Caribbean	2023	0.2	0.002	0.15	75	10.5	0.01	0.01
Dominica	Caribbean	2023	0.07	0.0007	0.05	75	10.5	0.003	0.003
Saint Vincent and the Grenadines	Caribbean	2023	0.1	0.001	0.08	75	10.5	0.005	0.005
Antigua and Barbuda	Caribbean	2023	0.09	0.0009	0.07	75	10.5	0.004	0.004
Saint Kitts and Nevis	Caribbean	2023	0.05	0.0005	0.04	75	10.5	0.002	0.002
Suriname	South America	2023	0.6	0.006	0.4	75	10.5	0.03	0.03
French Guiana	South America	2023	0.8	0.008	0.6	75	10.5	0.04	0.04
Guadeloupe	Caribbean	2023	0.4	0.004	0.3	75	10.5	0.02	0.02
Martinique	Caribbean	2023	0.4	0.004	0.3	75	10.5	0.02	0.02
Reunion	Caribbean	2023	0.9	0.009	0.7	75	10.5	0.04	0.04
Mayotte	Caribbean	2023	0.2	0.002	0.15	75	10.5	0.01	0.01

3. Niezależnie od ramienia leczenia, konsekwencją przejścia pacjenta do klasy czynnościowej NYHA IV jest wyłączenie z leczenia w programie.

[illegible]

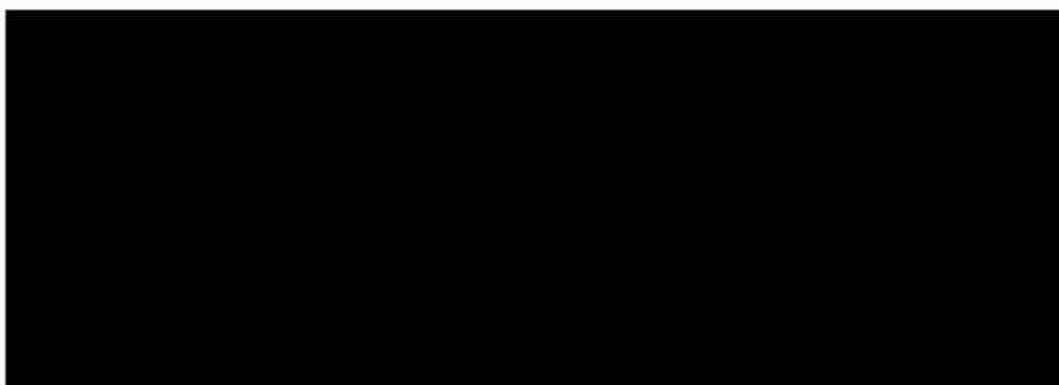
Przyjmując powyższe założenia, oszacowano liczbę pacjentów leczonych wutrisyranem i tafamidisem w kolejnych miesiącach trwania programu lekowego (Tab. 13). Na Rys. 2 przedstawiono zmianę liczby pacjentów leczonych wutrisyranem i tafamidisem w horyzoncie analizy. Zmiana nachylenia prostych w 12 miesiącu analizy wynika ze zmiany udziałów w rynku.

2. [REDACTED]

Tab. 13. Liczba pacjentów leczonych w danym miesiącu analizy – wariant podstawowy, scenariusz nowy.

[illegible]

[illegible]



Rys. 2. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant podstawowy, scenariusz nowy.

2.2.5 Podsumowanie szacunków liczebności populacji

Podsumowanie szacunków liczebności populacji leczonej wutrisyranem przedstawiono w Tab. 14.

Tab. 14. Podsumowanie szacunków rocznej wielkości populacji.

Populacja	Wielkość populacji	Odknośnik do rozdziału
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku	220-1 807	rozdział 2.2.2
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	6	rozdział 2.2.3
Populacja docelowa uwzględniona w niniejszej analizie ^a		rozdział 2.2.4

^a Z uwzględnieniem nowych włączeń, progresji pacjentów obecnie leczonych, progresji pacjentów nowo włączonych oraz wyłączeń z PL.

2.3 Scenariusze porównywane

W ramach analizy przedstawiono dwa scenariusze: scenariusz przedstawiający aktualną sytuację (brak finansowania przedmiotowego leku) – scenariusz istniejący, oraz scenariusz przewidywany po wprowadzeniu finansowania nowej technologii – scenariusz nowy. Oba scenariusze przeprowadzono dla dwóch perspektyw – perspektywy płatnika publicznego oraz perspektywy wspólnej. Opis poszczególnych scenariuszy przedstawiono poniżej.

2.3.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący odpowiada ilościowej prognozie rocznych wydatków z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz z perspektywy wspólnej (płatnika i pacjenta), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda pozytywnej decyzji o objęciu finansowania leku Amvuttra® w ramach programu lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

W celu oszacowania liczebności populacji docelowej w scenariuszu istniejącym założono, że:

- _____

- [REDACTED]

Tab. 15. Macierze przejść – BSC.

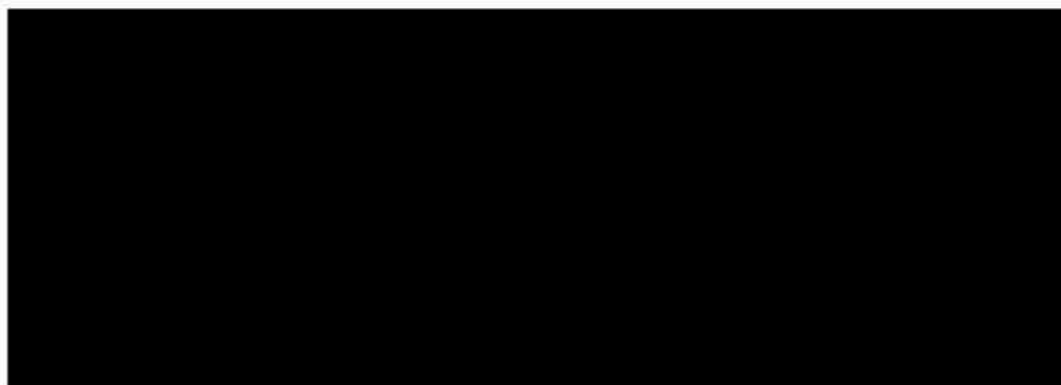
Country	Region	Year	Year	Year	Year	Year
Algeria	Algeria	2010	2011	2012	2013	2014
Algeria	Algeria	2015	2016	2017	2018	2019
Algeria	Algeria	2020	2021	2022	2023	2024
Algeria	Algeria	2025	2026	2027	2028	2029
Algeria	Algeria	2030	2031	2032	2033	2034
Algeria	Algeria	2035	2036	2037	2038	2039
Algeria	Algeria	2040	2041	2042	2043	2044
Algeria	Algeria	2045	2046	2047	2048	2049
Algeria	Algeria	2050	2051	2052	2053	2054
Algeria	Algeria	2055	2056	2057	2058	2059
Algeria	Algeria	2060	2061	2062	2063	2064
Algeria	Algeria	2065	2066	2067	2068	2069
Algeria	Algeria	2070	2071	2072	2073	2074
Algeria	Algeria	2075	2076	2077	2078	2079
Algeria	Algeria	2080	2081	2082	2083	2084
Algeria	Algeria	2085	2086	2087	2088	2089
Algeria	Algeria	2090	2091	2092	2093	2094
Algeria	Algeria	2095	2096	2097	2098	2099
Algeria	Algeria	2100	2101	2102	2103	2104
Algeria	Algeria	2105	2106	2107	2108	2109
Algeria	Algeria	2110	2111	2112	2113	2114
Algeria	Algeria	2115	2116	2117	2118	2119
Algeria	Algeria	2120	2121	2122	2123	2124
Algeria	Algeria	2125	2126	2127	2128	2129
Algeria	Algeria	2130	2131	2132	2133	2134
Algeria	Algeria	2135	2136	2137	2138	2139
Algeria	Algeria	2140	2141	2142	2143	2144
Algeria	Algeria	2145	2146	2147	2148	2149
Algeria	Algeria	2150	2151	2152	2153	2154
Algeria	Algeria	2155	2156	2157	2158	2159
Algeria	Algeria	2160	2161	2162	2163	2164
Algeria	Algeria	2165	2166	2167	2168	2169
Algeria	Algeria	2170	2171	2172	2173	2174
Algeria	Algeria	2175	2176	2177	2178	2179
Algeria	Algeria	2180	2181	2182	2183	2184
Algeria	Algeria	2185	2186	2187	2188	2189
Algeria	Algeria	2190	2191	2192	2193	2194
Algeria	Algeria	2195	2196	2197	2198	2199
Algeria	Algeria	2200	2201	2202	2203	2204
Algeria	Algeria	2205	2206	2207	2208	2209
Algeria	Algeria	2210	2211	2212	2213	2214
Algeria	Algeria	2215	2216	2217	2218	2219
Algeria	Algeria	2220	2221	2222	2223	2224
Algeria	Algeria	2225	2226	2227	2228	2229
Algeria	Algeria	2230	2231	2232	2233	2234
Algeria	Algeria	2235	2236	2237	2238	2239
Algeria	Algeria	2240	2241	2242	2243	2244
Algeria	Algeria	2245	2246	2247	2248	2249
Algeria	Algeria	2250	2251	2252	2253	2254
Algeria	Algeria	2255	2256	2257	2258	2259
Algeria	Algeria	2260	2261	2262	2263	2264
Algeria	Algeria	2265	2266	2267	2268	2269
Algeria	Algeria	2270	2271	2272	2273	2274
Algeria	Algeria	2275	2276	2277	2278	2279
Algeria	Algeria	2280	2281	2282	2283	2284
Algeria	Algeria	2285	2286	2287	2288	2289
Algeria	Algeria	2290	2291	2292	2293	2294
Algeria	Algeria	2295	2296	2297	2298	2299
Algeria	Algeria	2300	2301	2302	2303	2304
Algeria	Algeria	2305	2306	2307	2308	2309
Algeria						

22

Tab. 16. Podsumowanie liczby pacjentów nowo zakwalifikowanych do leczenia BSC i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – analiza bazowa, scenariusz istniejący.

Lek	BSC			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie					
I (2026)					
II (2027)					
Rocznie					
I (2026)					
II (2027)					
Suma					
I					
II					
Pełny okres analizy					

W Tab. 17 oraz na Rys. 3 zaprezentowano zmianę liczby pacjentów w horyzoncie analizy wpływu na budżet.



Rys. 3. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym i poza nim – wariant podstawowy, scenariusz istniejący.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono koszty:

- substancji (tafamidis) i jej podania,
- kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia,
- hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych,
- zdarzeń niepożądanych.

Tab. 17. Liczba pacjentów leczonych w danym miesiącu analizy – wariant podstawowy, scenariusz istniejący.

[illegible]

	93	156	6	0	0	57	220	156	376
	93	156	26	1	0	0	0	118	156
	186	312	32	1	0	57	220	274	532

2.3.2 Scenariusz nowy

Scenariusz nowy odpowiada ilościowej prognozie rocznych wydatków z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz z perspektywy wspólnej (płatnika i pacjenta), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że wydana zostanie pozytywna decyzja o refundacji preparatu Amvuttra® w ramach programu lekowego B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Metodykę oszacowania populacji docelowej w scenariuszu nowym przedstawiono w rozdziale 2.2.4.1.

Koszty analizowane w scenariuszu nowym są spójne z uwzględnionymi w scenariuszu istniejącym.

2.4 Analizowane koszty

W celu pokazania całkowitych kosztów leku w kontekście ogólnych wydatków, w niniejszej analizie, oprócz kosztu wnioskowanego leku oraz jego podania, uwzględniono koszty najlepszej terapii podtrzymującej, koszty kwalifikacji do programu lekowego i monitorowania leczenia, koszty zdarzeń sercowo-naczyniowych oraz koszty leczenia zdarzeń niepożądanych. Wymienione kategorie kosztów stanowią całkowite koszty różnicujące. Pozostałe kategorie kosztów bezpośrednich uznano za nieróżnicujące zaliczając je do kategorii kosztów wspólnych. Koszty te (jako koszty wspólne dla technologii wnioskowanej i komparatora) nie mają wpływu na wyniki analizy.

2.4.1 Koszt substancji

2.4.1.1 Wutrisyran

W wariantcie bez uwzględnienia mechanizmu RSS cena zbytu netto została ustalona na poziomie [REDACTED]

[REDACTED] W wariantcie z RSS przyjęto cenę hurtową brutto na poziomie [REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Tab. 18. 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.	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

Objaśnienia wyliczeń:

Zawartość opakowania	[1] CZN, PLN	[2] CH, PLN	[3] CHB, PLN	[4] WLF, PLN
Bez RSS				

[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. 19. 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. 20.

Parametr	Wartość
Z RSS	

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

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

W modelu budżetowym zastosowano cykle miesięczne. W związku z tym, przeprowadzono oszacowanie miesięcznego kosztu terapii wutrisyranem. Wynik oszacowania zaprezentowano w poniższej tabeli.

Tab. 21. Miesięczny koszt terapii wutrisyranem.

	Bez RSS	Z RSS
Cena zbytu netto, PLN		
Cena hurtowa brutto, PLN		
Miesięczny koszt terapii, PLN		

2.4.1.2 Tafamidis

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

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

Tab. 22. Koszt tafamidisu z RSS.

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

PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka

Analogicznie do wutrisyranu, oszacowano miesięczny koszt terapii tafamidisem, co zaprezentowano w Tab. 23.

Tab. 23. Miesięczny koszt terapii tafamidisem.

Cena zbytu netto, PLN	[REDACTED]
Cena hurtowa brutto, PLN	[REDACTED]
Miesięczny koszt terapii, PLN	[REDACTED]

2.4.2 Koszt podania leku

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 programu lekowego [72/2025/DGL]. Zastosowano mnożnik wartości punktu równy [REDACTED], bazując na opracowaniu AOTMiT nr WT.543.4.2025, w którym omówiono zmianę 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).

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Tab. 24. 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.

2.4.1 Koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby

2.4.1.1 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 programy lekowe, 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 nr WT.543.4.2025. Koszty diagnostyki i monitorowania przedstawiono w Tab. 25.

W modelu budżetowym koszt diagnostyki i monitorowania terapii doliczany jest w chwili włączenia pacjenta do programu lekowego, a następnie po roku od kwalifikacji. Pełna kwota ryczałtu uwzględniana jest w pierwszym cyklu miesięcznym danego okresu.

Tab. 25. Koszt diagnostyki i monitorowania w programie lekowym B.162.

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

2.4.1.2 Badania diagnostyczne i monitorowanie przebiegu choroby poza programem lekowym

W scenariuszu istniejącym konieczne było uwzględnienie kosztu monitorowania terapii pacjentów w klasie NYHA III, przyjmujących wyłącznie leczenie objawowe. Z tego względu w modelu uwzględniono również koszty badań diagnostycznych i monitorowania choroby poza programem lekowym. Koszty te zostały szczegółowo omówione w analizie ekonomicznej AE Amvuttra 2025. Poniżej przedstawiono podsumowanie oszacowań.

Tab. 26. Koszt świadczeń realizowanych w ramach monitorowania przebiegu choroby poza programem lekowym.

Badanie	Świadczenie	Wartość punktowa	Wartość punktu, PLN	Koszt, PLN
Echokardiografia	W17 Świadczenie specjalistyczne 7-go typu (5.30.00.0000017)			
Konsultacja specjalistyczna w zakresie kardiologii	W11 Świadczenie specjalistyczne 1-go typu			
Badania laboratoryjne	W12 Świadczenie specjalistyczne 2-go typu (5.30.00.0000012)			

W analizie wpływu na budżet uwzględniono wyłącznie koszt echokardiografii, konsultacji specjalistycznej z zakresu kardiologii oraz badań laboratoryjnych. Dodatkowo przyjęto, że świadczenia te będą realizowane raz na pół roku. Dobór świadczeń oraz częstotliwość ich realizacji oparto na wytycznych dotyczących monitorowania przebiegu ATTR-CM [Gracia Pavia 2021].

2.4.2 Koszt leczenia objawowego (terapii podtrzymującej)

Oszacowanie kosztu leczenia objawowego (terapii podtrzymującej) rozpoczęto od wyznaczenia ceny za miligram substancji czynnej. Sposób ten ma na celu precyzyjne określenie kosztu terapii, biorąc przy tym pod uwagę liczne prezentacje danego leku. Dobór analizowanych substancji czynnych był spójny z założeniami analizy ekonomicznej [AE Amvuttra 2025]. Koszt leków przedstawiono zarówno z perspektywy płatnika, jak i perspektywy wspólnej – płatnika i świadczeniobiorcy.

Oszacowanie oparto na danych z Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 marca 2026 roku w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2026 roku. Koszt miligrama danej substancji obliczono jako średnią ważoną liczbą sprzedanych opakowań w okresie od stycznia do grudnia 2025 roku [Raport refundacyjny]. Wartości DDD przyjęto zgodnie z analizą ekonomiczną AE Amvuttra 2025. W poniższej tabeli przedstawiono koszt za miligram substancji, dawki dzienne oraz koszt miesięcznej terapii danym lekiem.

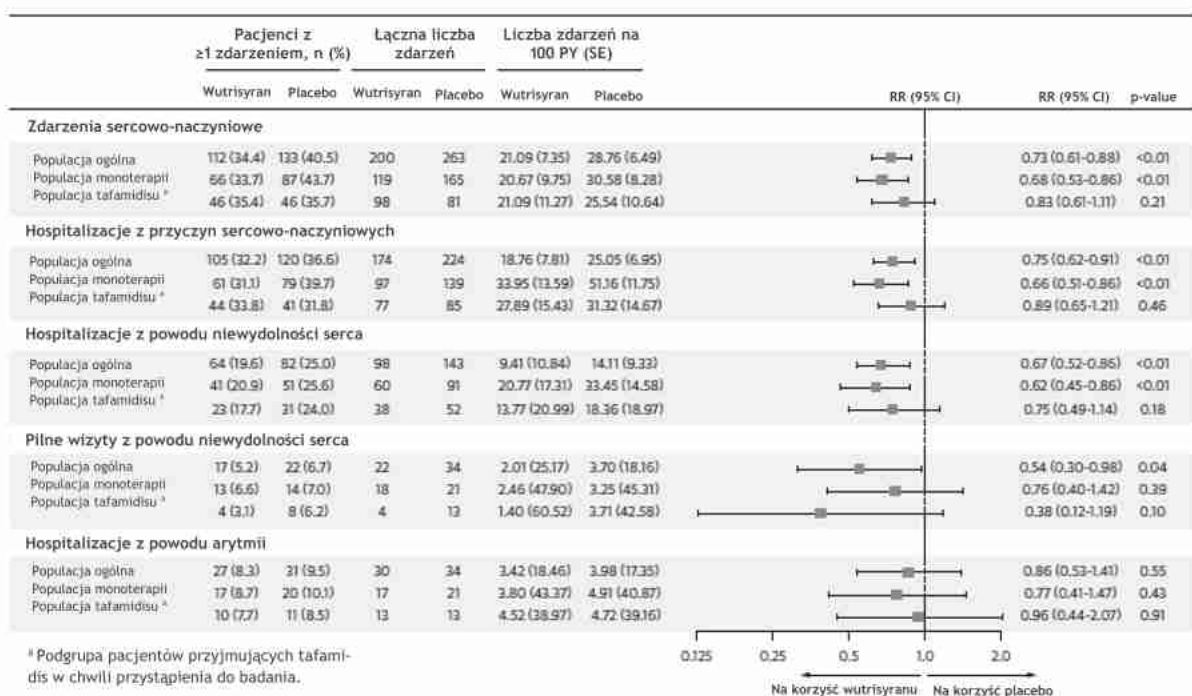
Tab. 27. Koszt za mg oraz koszt miesięczny leków wykorzystywanych w terapii podtrzymującej.

Substancja czynna	Koszt za mg, perspektywa NFZ, PLN	Koszt za mg, perspektywa wspólna, PLN	DDD, mg	Koszt miesięczny, perspektywa NFZ, PLN	Koszt miesięczny, perspektywa wspólna, PLN
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Następnie, wykorzystując strukturę zużycia poszczególnych leków (por. Tab. 28), zaczerpniętą z modelu ekonomicznego, oszacowano miesięczny koszt leczenia objawowego w każdym z ramion uwzględnionych w niniejszej analizie (por. Tab. 29).

Tab. 28. Struktura zużycia leków w terapii podtrzymującej w zależności od ramienia leczenia.

Lek	Wutrisyran	Tafamidis	BSC
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]



Opracowanie własne na podstawie Witteles 2025.

Rys. 4. Analiza skuteczności wutrisyranu w zakresie zdarzeń sercowo-naczyniowych [Witteles 2025a].

Tab. 32. Liczba zdarzeń na 1 pacjentorok terapii [na podstawie Witteles 2025].

	Hospitalizacja z przyczyn sercowo-naczyniowych	Nagła niewydolność serca
Wutrisyran		
Tafamidis		
BSC		

Tab. 33. Miesięczne prawdopodobieństwo wystąpienia zdarzeń.

	Hospitalizacja z przyczyn sercowo-naczyniowych	Nagła niewydolność serca
Wutrisyran		
Tafamidis		
BSC		

Podsumowanie przedstawiono w Tab. 34.

Tab. 34. Miesięczny koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych.

	Hospitalizacja z przyczyn sercowo-naczyniowych, PLN	Nagła niewydolność serca, PLN	Suma, PLN
Wutrisyran			
Tafamidis			
BSC			

2.4.4 Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych

Koszty leczenia zdarzeń niepożądanych omówiono szczegółowo w analizie ekonomicznej AE Amvuttra 2025. Poniżej przedstawiono podsumowanie oszacowań.

Tab. 35. Koszty jednorazowe leczenia zdarzeń niepożądanych.

Zdarzenie	Koszt jednorazowy, PLN
Migotanie przedsionków	
Zapalenie stawów	
Zapalenie płuc	
Ostra niewydolność nerek	
Trzepotanie przedsionków	
Częstoskurcz komorowy	
Omdlenie	
Ból w klatce piersiowej	
Hiponatremia	
Zatrzymanie moczu	

Tab. 36. Prawdopodobieństwo wystąpienia zdarzeń niepożądanych.

	Wutrisyran		Tafamidis		BSC	
	P trzymiesięczne	P miesięczne	P trzymiesięczne	P miesięczne	P trzymiesięczne	P miesięczne
Migotanie przedsionków						

Zapalenie stawów						
Zapalenie płuc						
Ostra niewydolność nerek						
Trzepotanie przedsionków						
Częstoskurcz komorowy						
Omdlenie						
Ból w klatce piersiowej						
Hiponatremia						
Zatrzymanie moczu						

Miesięczny koszt leczenia zdarzeń niepożądanych oszacowano jako sumę iloczynów prawdopodobieństwa i kosztu jednorazowego zdarzenia (Tab. 37).

Tab. 37. Miesięczny koszt leczenia zdarzeń niepożądanych.

	Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych, PLN
Wutrisyran	
Tafamidis	
BSC	

2.4.5 Podsumowanie analizowanych kosztów

Poniżej zestawiono dane kosztowe wykorzystane w niniejszej analizie wpływu na budżet.

Tab. 38. Zestawienie parametrów kosztowych analizy wpływu na budżet.

Parametr	Uwagi	Koszt, PLN
Interwencja	Koszt miesięczny	Amvuttra® bez RSS
		Amvuttra® z RSS
		Vynaquel®
Najlepsza terapia podtrzymująca	Perspektywa płatnika	Amvuttra®
		Vyndaquel®
		BSC
	Perspektywa wspólna	Amvuttra®
		Vyndaquel®
		BSC
Koszt badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby	Koszt cykliczny	Amvuttra® i Vyndaquel®
		BSC

Koszt podania leku	Koszt pierwszej dawki leku	Amvuttra®	
		Vyndaqel®	
		BSC	
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych	Koszt miesięczny	Amvuttra®	
		Vyndaqel®	
		BSC	
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	Koszt miesięczny	Amvuttra®	
		Vyndaqel®	
		BSC	

Przeprowadzono analizę wrażliwości, w której testowano wpływ danych wejściowych obarczonych największą niepewnością oszacowań na wyniki analizy. Poniżej zdefiniowano warianty analizy wrażliwości, które wykorzystano, aby zbadać odporność uzyskiwanych wyników na niepewność dotyczącą wielkości nowo zdiagnozowanej populacji uwzględnionej w niniejszej analizie.

W wariancie minimalnym analizy wrażliwości założono, że [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

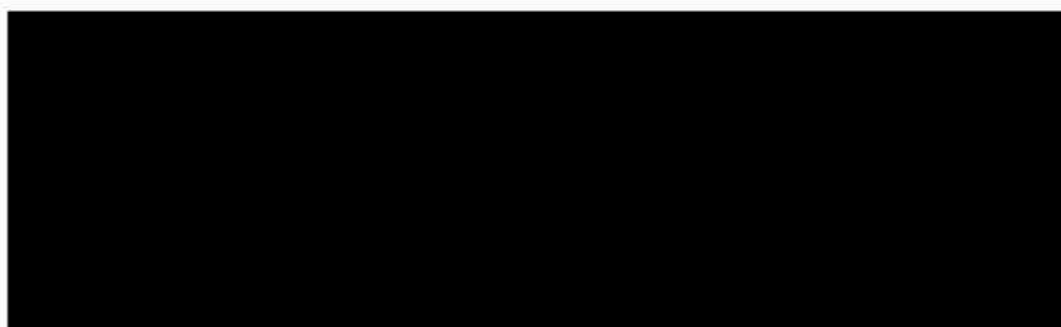
[REDACTED]

[REDACTED] Pozostałe kroki oszacowania wielkości populacji pozostają spójne z wariantem podstawowym, zaprezentowanym w rozdziałach 2.2.4 oraz 2.2.4.1. Poniżej przedstawiono podsumowanie liczebności w wariancie minimalnym (scenariusz nowy i istniejący) oraz wykresy przedstawiające zmianę liczebności populacji leczonej wutrisyranem (lub BSC) oraz tafamidem (scenariusz nowy i istniejący).

Lek	Wutrisyran						Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II			
Miesięcznie (nowe włączenia)								
I (2026)								
II (2027)								
Rocznie (nowe włączenia)								
I (2026)								
II (2027)								
Suma (nowe włączenia)								
I								
II								
Pełny okres analizy								

Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń			
I		■	■
II		■	■
Pełny okres analizy		■	■

Założono, że struktura udziału poszczególnych leków w populacji chorych w klasach NYHA I-II jest zgodna z opinią ekspercką (Tab. 9). W populacji NYHA III jedyną opcją terapeutyczną jest wutrisyran.

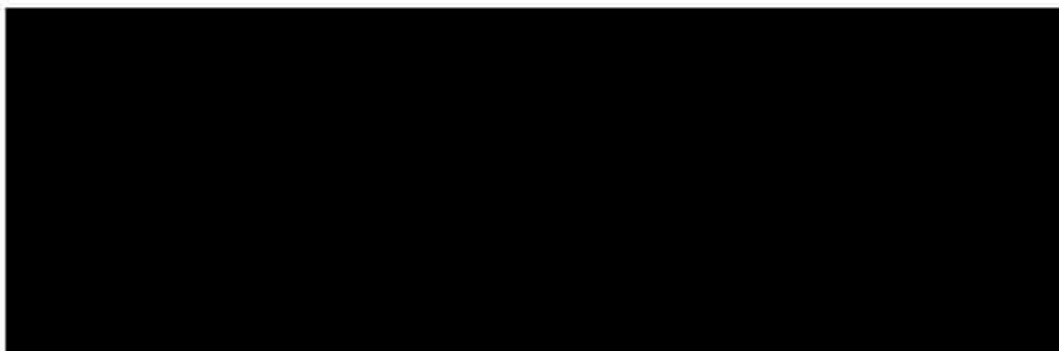


Rys. 5. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant minimalny, scenariusz nowy.

Tab. 40. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, scenariusz istniejący.

Lek	BSC			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Rocznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Suma (nowe włączenia)					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■
Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■

Prezentowane wyniki zaokrąglono do liczb całkowitych.



Rys. 6. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – wariant minimalny, scenariusz istniejący.

2.5.2 Scenariusz B – wariant maksymalny

W wariantcie maksymalnym analizy wrażliwości założono, że

[Redacted text block]

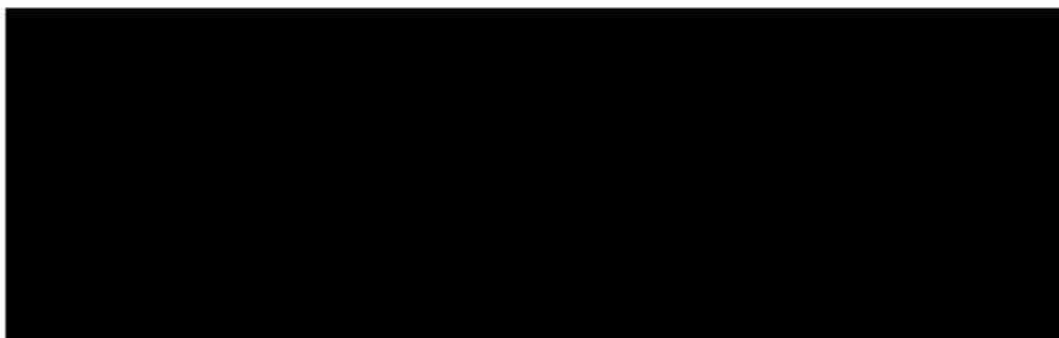
Pozostałe kroki oszacowania wielkości populacji pozostają spójne z wariantem podstawowym, zaprezentowanym w rozdziałach 2.2.4 oraz 2.2.4.1. Poniżej przedstawiono podsumowanie liczebności w wariantcie maksymalnym (scenariusz nowy i istniejący) oraz wykresy przedstawiające zmianę liczebności populacji leczonej wutrisyranem (lub BSC) oraz tafamidisem (scenariusz nowy i istniejący).

Tab. 41. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, scenariusz nowy.

Lek	Wutrisyran			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Rocznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Suma (nowe włączenia)					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■
Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■

Prezentowane wyniki zaokrąglono do liczb całkowitych.

Założono, że struktura udziału poszczególnych leków w populacji chorych w klasach NYHA I-II jest zgodna z opinią ekspercką (Tab. 9). W populacji NYHA III jedyną opcją terapeutyczną jest wutrisyran.



Rys. 7. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant maksymalny, scenariusz nowy.

Tab. 42. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, scenariusz istniejący.

Lek	BSC			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Rocznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Suma (nowe włączenia)					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■
Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■

Prezentowane wyniki zaokrąglono do liczb całkowitych.



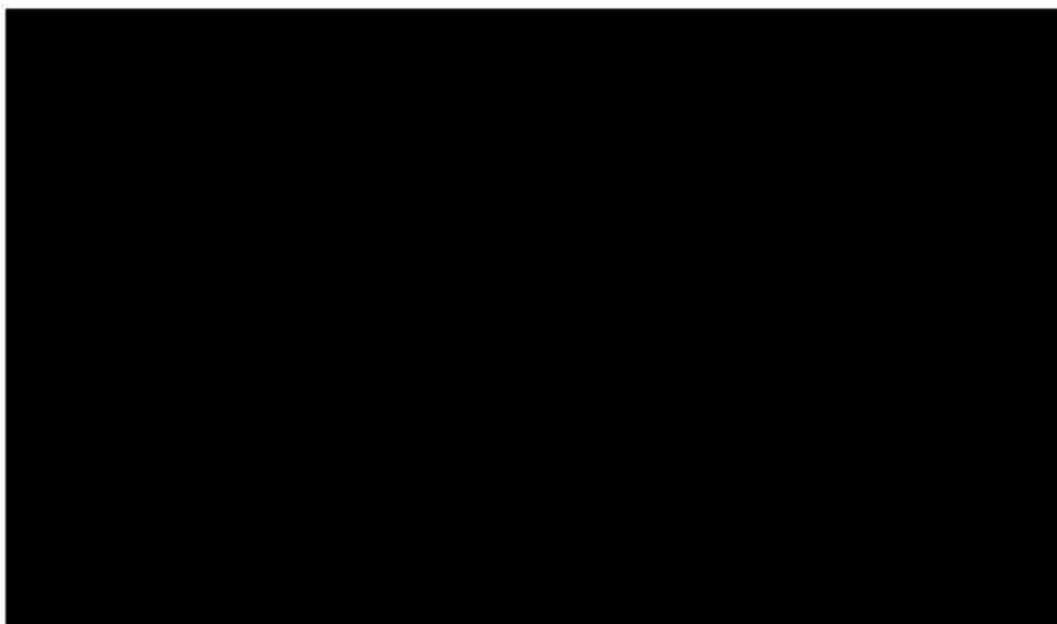
Rys. 8. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – wariant maksymalny, scenariusz istniejący.

2.5.3 Scenariusz C

W scenariuszu C analizy wrażliwości przyjęto, [REDACTED]

Podobnie, jak w pozostałych wariantach analizy, wykorzystano dane z pracy Sobczyńska-Kielias 2023, w celu oszacowania włączeń w poszczególnych klasach NYHA. [REDACTED]

[REDACTED] Pozostałe kroki oszacowania wielkości populacji pozostają spójne z wariantem podstawowym, zaprezentowanym w rozdziałach 2.2.4 oraz 2.2.4.1.



Rys. 9. Prognoza liczby pacjentów włączanych do programu lekowego w klasach NYHA I-II.

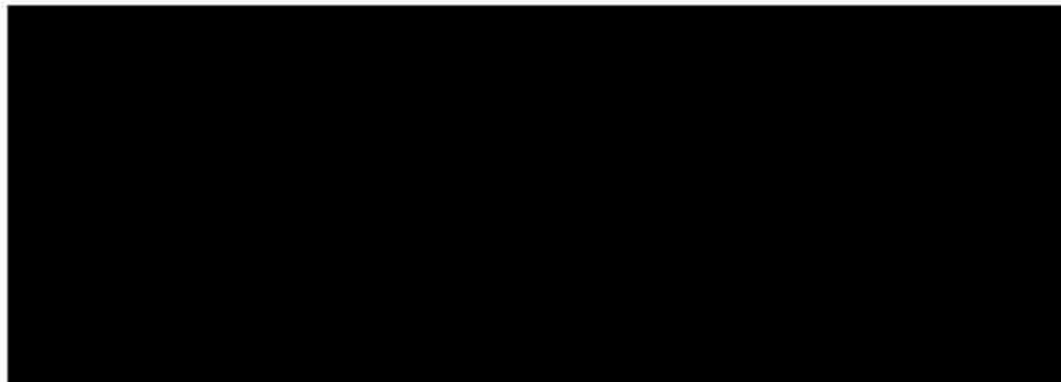
Poniżej przedstawiono podsumowanie liczebności w Scenariuszu C (scenariusz nowy i istniejący) oraz wykresy przedstawiające zmianę liczebności populacji leczonej wutrisyranem (lub BSC) oraz tafamidisem (scenariusz nowy i istniejący).

Tab. 43. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – Scenariusz C, scenariusz nowy.

Lek	Wutrisyran			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie (nowe włączenia, średnia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Rocznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Suma					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■
Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń					
I			■		■
II			■		■
Pełny okres analizy			■		■

Prezentowane wyniki zaokrąglono do liczb całkowitych.

Założono, że struktura udziału poszczególnych leków w populacji chorych w klasach NYHA I-II jest zgodna z opinią ekspercką (Tab. 9). W populacji NYHA III jedyną opcją terapeutyczną jest wutrisyran.



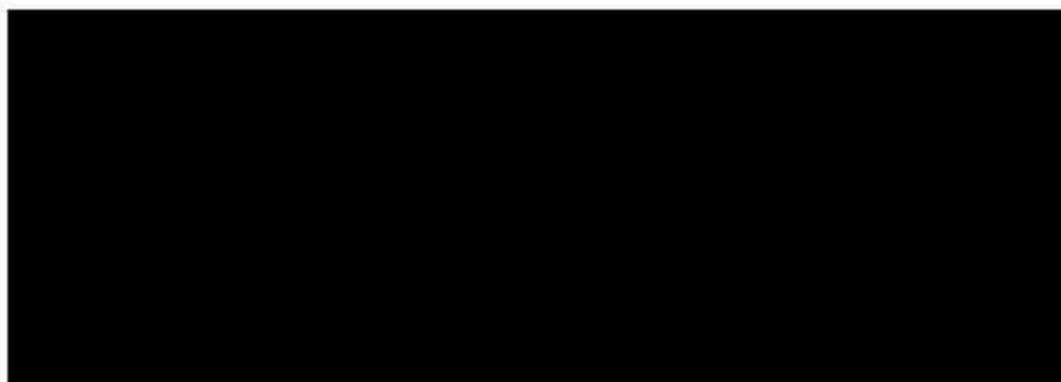
Rys. 10. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – Scenariusz C, scenariusz nowy.

Tab. 44. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – Scenariusz C, scenariusz istniejący.

Lek	BSC			Tafamidis	
Klasa NYHA	I	II	III	I	II
Miesięcznie (nowe włączenia, średnia)					
I (2026)	■	■	■	■	■
II (2027)	■	■	■	■	■
Rocznie (nowe włączenia)					
I (2026)	■	■	■	■	■

II (2027)					
Suma (nowe włączenia)					
I					
II					
Pełny okres analizy					
Z uwzględnieniem progresji pacjentów nowo włączonych i obecnie leczonych oraz wyłączeń					
I					
II					
Pełny okres analizy					

Prezentowane wyniki zaokrąglono do liczb całkowitych.



Rys. 11. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – Scenariusz C, scenariusz istniejący.

2.5.4 Zestawienie parametrów analizy wrażliwości i wariantu podstawowego

W Tab. 45 przedstawiono podsumowanie zmiennych testowanych w ramach analizy wrażliwości. Przedstawione liczebności uwzględniają:

- pacjentów nowo włączonych do programu lekowego,
- pacjentów obecnie leczonych w programie lekowym,
- pacjentów obecnie leczonych w programie lekowym, którzy w wyniku progresji do klasy czynnościowej NYHA III, przejdą na leczenie wutrisyranem,
- pacjentów nowo włączonych, u których w trakcie analizy dojdzie do progresji skutkującej zmianą leczenia,
- korektę pacjentów wyłączonych.

Tab. 45. Założenia analizy wrażliwości i wariantu podstawowego.

	Wariant podstawowy		Scenariusz A – wariant minimalny		Scenariusz B – wariant maksymalny		Scenariusz C	
	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis	Wutrisyran/BSC ^a	Tafamidis
<i>Scenariusz nowy</i>								
I rok	■	■	■	■	■	■	■	■
II rok	■	■	■	■	■	■	■	■
Łącznie	■	■	■	■	■	■	■	■
<i>Scenariusz istniejący</i>								
I rok	■	■	■	■	■	■	■	■
II rok	■	■	■	■	■	■	■	■
Łącznie	■	■	■	■	■	■	■	■

^a Wutrisyran w scenariuszu nowym, BSC w scenariuszu istniejącym.

3 Wyniki analizy wpływu na budżet

3.1 Aktualne roczne wydatki NFZ

W celu oszacowania aktualnych rocznych wydatków z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, przyjęto liczebność populacji równą skumulowanej liczbie pacjentów leczonych w programie w kwietniu 2026 roku, oszacowanej na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego (Tab. 7), [REDACTED]. Pacjenci ci przyjmują terapię tafamidisem w ramach programu lekowego B. 162. Pod uwagę wzięto koszty substancji, diagnostyki i monitorowania terapii w programie lekowym, najlepszej opieki podtrzymującej, leczenia zdarzeń sercowo-naczyniowych oraz zdarzeń niepożądanych.

Sumaryczny roczny koszt ponoszony przez płatnika wyniósł 56 396 371,12 PLN (Tab. 46).

Tab. 46. Aktualne roczne wydatki NFZ.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika
Koszt tafamidisu	50 593 393,43
Koszt diagnostyki i monitorowania leczenia	591 099,73
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej	216 632,00
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych	732 845,83
Koszt zdarzeń niepożądanych	4 262 400,12
Koszty sumaryczne	56 396 371,12

3.2 Wariant podstawowy

Wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie podstawowym przedstawiono w tabelach Tab. 47 oraz Tab. 48.

W przypadku wariantu podstawowego, w perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]).

W perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym, w wariantcie bez RSS, wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]). W wariantcie z RSS koszty całkowite wyniosły [REDACTED] w I i II roku analizy ([REDACTED]).

W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym, w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariantcie z RSS, koszty inkrementalne w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED]

Koszty w perspektywie wspólnej nie różniły się znacząco od kosztów w perspektywie płatnika. W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a

istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariancie z RSS, różnice te wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy.

Tab. 47. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego – wariant bez RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt zdarzeń niepożądanych	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszty sumaryczne	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Scenariusz nowy				
Koszt substancji	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

Tab. 48. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego – wariant z RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu BSC</i>				

<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				

w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

3.3 Analiza wrażliwości

3.3.1 Scenariusz A – wariant minimalny

Wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie minimalnym przedstawiono w Tab. 49 oraz Tab. 50.

W przypadku Scenariusza A, w perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]).

W perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym, w wariantcie bez RSS, wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]). W wariantcie z RSS koszty całkowite wyniosły [REDACTED] w I i II roku analizy ([REDACTED]).

W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym, w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariantcie z RSS, koszty inkrementalne w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy.

Koszty w perspektywie wspólnej nie różniły się znacząco od kosztów w perspektywie płatnika. W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariantcie z RSS, różnice te wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy.

Tab. 49. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz A, wariant bez RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				

Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

Tab. 50. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz A, wariant z RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				

Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu wutrisyranu</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty inkrementalne				

Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

3.3.2 Scenariusz B – wariant maksymalny

Wyniki analizy wpływu na budżet w wariantcie maksymalnym przedstawiono w tabelach Tab. 51 oraz Tab. 52.

W przypadku Scenariusza B, w perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu istniejącym wyniosły w I roku analizy () i w II roku analizy ().

W perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym, w wariantcie bez RSS, wyniosły w I roku analizy () i w II roku analizy (). W wariantcie z RSS koszty całkowite wyniosły w I i II roku analizy ().

W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym, w perspektywie płatnika wyniosły w I roku analizy i w II roku analizy. W wariantcie z RSS, koszty inkrementalne w perspektywie płatnika wyniosły w I roku analizy i w II roku analizy.

Koszty w perspektywie wspólnej nie różniły się znacząco od kosztów w perspektywie płatnika. W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym wyniosły w I roku analizy i w II roku analizy. W wariantcie z RSS, różnice te wyniosły w I roku analizy i w II roku analizy.

Tab. 51. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz B, wariant bez RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				

w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt podania				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				

w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

Tab. 52. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz B, wariant z RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt podania				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				

w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt podania				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				

Koszty sumaryczne				
-------------------	--	--	--	--

3.3.3 Scenariusz C

Wyniki analizy wpływu na budżet w Scenariuszu C przedstawiono w tabelach Tab. 53 oraz Tab. 54.

W przypadku Scenariusza C, w perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]).

W perspektywie płatnika, łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym, w wariantcie bez RSS, wyniosły [REDACTED] w I roku analizy ([REDACTED]) i [REDACTED] w II roku analizy ([REDACTED]). W wariantcie z RSS koszty całkowite wyniosły [REDACTED] w I i II roku analizy ([REDACTED]).

W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym, w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariantcie z RSS, koszty inkrementalne w perspektywie płatnika wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy.

Koszty w perspektywie wspólnej nie różniły się znacząco od kosztów w perspektywie płatnika. W wariantcie bez RSS, różnice kosztów całkowitych między scenariuszem nowym a istniejącym wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy. W wariantcie z RSS, różnice te wyniosły [REDACTED] w I roku analizy i [REDACTED] w II roku analizy.

Tab. 53. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz C, wariant bez RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu tafamidisu</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<i>w ramieniu BSC</i>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu BSC				
w ramieniu tafamidisu				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt podania				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				

Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

Tab. 54. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz C, wariant z RSS.

Kategoria kosztów	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszt substancji				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt podania				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Koszty sumaryczne				
<i>w ramieniu BSC</i>				
<i>w ramieniu tafamidisu</i>				
Scenariusz nowy				
Koszt substancji				

w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt podania				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty sumaryczne				
w ramieniu wutrisyranu				
w ramieniu tafamidisu				
Koszty inkrementalne				
Koszt substancji				
Koszt podania				
Koszt kwalifikacji do terapii i monitorowania leczenia				
Koszt najlepszej opieki podtrzymującej				
Koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych				
Koszt zdarzeń niepożądanych				
Koszty sumaryczne				

3.4 Podsumowanie wyników analizy wpływu na budżet

Wyniki wszystkich wariantów przeprowadzonej analizy wskazują, że pozytywna decyzja refundacyjna będzie generowała dodatkowe wydatki (Tab. 55).

Tab. 55. Zestawienie wyników całkowitych kosztów inkrementalnych wszystkich wariantów niniejszej analizy.

Wariant analizy	Perspektywa płatnika		Perspektywa wspólna	
	I rok analizy	II rok analizy	I rok analizy	II rok analizy
<i>Bez RSS</i>				
Wariant podstawowy	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz A	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz B	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz C	██████████	██████████	██████████	██████████
<i>Z RSS</i>				
Wariant podstawowy	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz A	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz B	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz C	██████████	██████████	██████████	██████████

Wszystkie koszty podano w PLN.

PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka

4 Aspekty etyczne, społeczne, prawne oraz wpływ decyzji na organizację udzielania świadczeń

Leczenie wnioskowaną interwencją nie wpływa na prawa pacjenta i prawa człowieka i nie stawia nowych wymogów w stosunku do pacjenta. Pozytywna decyzja o refundacji produktu Amvuttra® nie wpłynie na wydatki w innych sektorach niż ochrona zdrowia, w związku z tym zakres analizy obejmował tylko ten sektor.

Należy podkreślić, iż wnioskowane jest rozszerzenie funkcjonującego obecnie programu lekowego, zatem nie przewiduje się, aby pozytywna decyzja refundacyjna pociągała za sobą zmianę organizacji udzielania świadczeń.

Wutrisyran jest lekiem podawanym podskórnie. Pierwsze podanie leku przeprowadzane jest pod kontrolą personelu medycznego w ramach wizyty ambulatoryjnej. Kolejne dawki leku przyjmowane są samodzielnie przez pacjenta w warunkach domowych. Należy zatem uznać, że podanie wutrisyranu nie generuje kosztów związanych z wyposażeniem w dodatkowy sprzęt oraz przeszkoleniem personelu, ani nie wymaga opracowania nowych wytycznych klinicznych. Leczenie będzie można prowadzić w obecnych ośrodkach zajmujących się leczeniem ATTR-CM.

Pozytywna decyzja odnośnie do refundacji nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi oraz nie stwarza konieczności dokonania zmian w prawie lub przepisach.

5 Dyskusja wyników i ograniczeń

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu na wydatki płatnika publicznego wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Amvuttra® (wutrisyran) finansowaniem w ramach programu lekowego (PL) B.162. „Leczenie pacjentów z kardiomiopatią (ICD-10: E85, I42.1)”.

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) oraz perspektywy wspólnej (płatnika i świadczeniobiorcy) w horyzoncie dwóch kolejnych lat. W analizie uwzględniono koszty leków i ich podania (wutrisyranu i tafamidisu), najlepszej opieki podtrzymującej, badań diagnostycznych i monitorowania przebiegu choroby, zdarzeń sercowo-naczyniowych oraz leczenia zdarzeń niepożądanych. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym przyjęto brak refundacji wutrisyranu w analizowanym wskazaniu, oraz scenariusz nowy, w którym założono objęcie refundacją preparatu Amvuttra® w ramach programu lekowego B.162. Analizę przeprowadzono w dwóch wersjach cenowych: bez uwzględnienia mechanizmu dzielenia ryzyka (RSS) oraz z uwzględnieniem RSS – na podstawie informacji Zlecniodawcy.

Oszacowanie wielkości populacji docelowej zostało przeprowadzone na podstawie danych z protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego, dotyczących liczby pacjentów zakwalifikowanych do terapii tafamidisem w okresie od listopada 2024 roku do kwietnia 2026 roku. Z uwagi na rozbieżności w zakresie kryteriów kwalifikacji do leczenia tafamidisem i wutrisyranem, konieczne było uwzględnienie w oszacowaniu struktury klas czynnościowych NYHA, którą zaczerpnięto z polskiego badania obserwacyjnego. Dodatkowo, w celu precyzyjnego określenia sytuacji klinicznej chorych oraz zmian liczebności populacji w trakcie trwania analizy, pod uwagę wzięto progresję choroby mającą miejsce podczas stosowania leczenia celowanego. Dane dotyczące odsetka progresji wśród pacjentów obecnie leczonych w programie lekowym oraz struktury udziałów w rynku, oparto na informacjach pozyskanych z ankiet eksperckich.

W celu przetestowania odporności wnioskowania na zmianę kluczowego parametru analizy, tj. liczebności populacji docelowej, przeprowadzono analizę wrażliwości. [REDACTED]

Przeprowadzona analiza wykazała, że pozytywna decyzja o objęciu produktu leczniczego Amvuttra® finansowaniem w ramach programu lekowego B.162. zwiększy całkowite wydatki ponoszone przez płatnika oraz płatnika i świadczeniobiorcę, zarówno w pierwszym, jak i w drugim roku analizy. [REDACTED]

Tab. 56. Procentowy udział ceny leku w całkowitych wydatkach w danym roku.

		Wariant podstawowy		Scenariusz A		Scenariusz B		Scenariusz C	
		I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący									
Scenariusz nowy									

Wyniki dla wariantu z RSS, w perspektywie płatnika.

Wprowadzenie refundacji produktu leczniczego Amvuttra® w populacji pacjentów z ATTR-CM znajduje poparcie w wynikach badań klinicznych. Jak wykazano w analizie klinicznej, wutrisyan wykazuje skuteczność w leczeniu pacjentów z ATTR-CM, tj. 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. Obecnie, terapia w ramach programu lekowego 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 wutrisyanem kwalifikować się będą pacjenci w klasie czynnościowej NYHA III, co stanowić będzie odpowiedź na dotychczas niezaspokojoną potrzebę medyczną tej grupy pacjentów.

6 Wnioski końcowe

Analiza wykazała, że pozytywne rozpatrzenie wniosku refundacyjnego związane będzie z dodatkowymi wydatkami po stronie NFZ. Należy jednak podkreślić, że rozszerzenie warunków kwalifikacji do leczenia wutrisyranem umożliwi dostęp do terapii pacjentom, 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: Program lekowy

LECZENIE PACJENTÓW Z KARDIOMIOPATIA (ICD-10: E85, I42.1)

[illegible]

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

8 Aneks 2: Ankieta ekspercka

[illegible]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

Spis rysunków

Rys. 1. Zmiana liczby włączeń do programu lekowego B.162 oraz skumulowana liczba chorych leczonych tafamidisem.....	14
Rys. 2. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant podstawowy, scenariusz nowy.	21
Rys. 3. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym i poza nim – wariant podstawowy, scenariusz istniejący.....	23
Rys. 4. Analiza skuteczności wutrisyranu w zakresie zdarzeń sercowo-naczyniowych [Witteles 2025a].....	33
Rys. 5. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant minimalny, scenariusz nowy.	37
Rys. 6. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – wariant minimalny, scenariusz istniejący.	38
Rys. 7. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – wariant maksymalny, scenariusz nowy.	39
Rys. 8. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – wariant maksymalny, scenariusz istniejący.....	40
Rys. 9. Prognoza liczby pacjentów włączanych do programu lekowego w klasach NYHA I-II.	40
Rys. 10. Liczba pacjentów leczonych w programie lekowym – Scenariusz C, scenariusz nowy.....	41
Rys. 11. Liczba pacjentów leczonych w programie i poza nim – Scenariusz C, scenariusz istniejący.....	42

Spis tabel

Tab. 1. Ceny leku – wariant bez RSS.....	8
Tab. 2. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.	8
Tab. 3. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.	8
Tab. 4. Rozkład stopnia zaawansowania polineuropatii w badaniach NEURO-TTTransform, APOLLO i HELIOS-A [Coelho 2023, Adams 2022].	10
Tab. 5. Częstość występowania ATTR-CM [Delgado 2025].....	11
Tab. 6. Liczebność populacji zgodnej z ChPL w Polsce.....	11
Tab. 7. Miesięczna liczba włączeń do programu lekowego B.162 [na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego].....	13
Tab. 8. Miesięczna liczba włączeń w zależności od klasy NYHA.....	15
Tab. 9. Struktura udziałów w rynku.	15
Tab. 10. Podsumowanie liczby pacjentów nowo zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – analiza bazowa, scenariusz nowy.	15
Tab. 11. Macierze przejść – wutrisyran.....	16
Tab. 12. Macierze przejść – tafamidis.	17
Tab. 13. Liczba pacjentów leczonych w danym miesiącu analizy – wariant podstawowy, scenariusz nowy.	19
Tab. 14. Podsumowanie szacunków rocznej wielkości populacji.....	21
Tab. 15. Macierze przejść – BSC.....	22
Tab. 16. Podsumowanie liczby pacjentów nowo zakwalifikowanych do leczenia BSC i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – analiza bazowa, scenariusz istniejący.	23
Tab. 17. Liczba pacjentów leczonych w danym miesiącu analizy – wariant podstawowy, scenariusz istniejący.	24
Tab. 18. Wnioskowana cena leku Amvuttra® bez RSS.	26
Tab. 19. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.	27
Tab. 20. Wnioskowana cena leku Amvuttra® z RSS.	27
Tab. 21. Miesięczny koszt terapii wutrisyranem.	27
Tab. 22. Koszt tafamidisu z RSS.....	28
Tab. 23. Miesięczny koszt terapii tafamidisem.	28
Tab. 24. Koszty podania pierwszej dawki leku.....	29
Tab. 25. Koszt diagnostyki i monitorowania w programie lekowym B.162.	29
Tab. 26. Koszt świadczeń realizowanych w ramach monitorowania przebiegu choroby poza programem lekowym.....	30
Tab. 27. Koszt za mg oraz koszt miesięczny leków wykorzystywanych w terapii podtrzymującej.	31

Tab. 28. Struktura zużycia leków w terapii podtrzymującej w zależności od ramienia leczenia.....	31
Tab. 29. Miesięczny koszt leczenia objawowego w zależności od ramienia terapii.	32
Tab. 30. Koszt hospitalizacji z przyczyn sercowo-naczyniowych	32
Tab. 31. Koszt nagłej niewydolności serca	32
Tab. 32. Liczba zdarzeń na 1 pacjentorok terapii [na podstawie Witteles 2025].	33
Tab. 33. Miesięczne prawdopodobieństwo wystąpienia zdarzeń.....	33
Tab. 34. Miesięczny koszt zdarzeń sercowo-naczyniowych.	34
Tab. 35. Koszty jednorazowe leczenia zdarzeń niepożądanych.	34
Tab. 36. Prawdopodobieństwo wystąpienia zdarzeń niepożądanych.	34
Tab. 37. Miesięczny koszt leczenia zdarzeń niepożądanych.	35
Tab. 38. Zestawienie parametrów kosztowych analizy wpływu na budżet.	35
Tab. 39. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, scenariusz nowy.	36
Tab. 40. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant minimalny, scenariusz istniejący.	37
Tab. 41. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, scenariusz nowy.	38
Tab. 42. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – wariant maksymalny, scenariusz istniejący.....	39
Tab. 43. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – Scenariusz C, scenariusz nowy.	41
Tab. 44. Podsumowanie liczby pacjentów zakwalifikowanych do leczenia wutrisyranem i tafamidisem w pierwszym i drugim roku analizy wpływu na budżet – Scenariusz C, scenariusz istniejący.	41
Tab. 45. Założenia analizy wrażliwości i wariantu podstawowego.	43
Tab. 46. Aktualne roczne wydatki NFZ.....	44
Tab. 47. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego – wariant bez RSS. ...	45
Tab. 48. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego – wariant z RSS.	46
Tab. 49. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz A, wariant bez RSS.	49
Tab. 50. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz A, wariant z RSS.	50
Tab. 51. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz B, wariant bez RSS.	52
Tab. 52. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz B, wariant z RSS.	54
Tab. 53. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz C, wariant bez RSS.	56
Tab. 54. Zestawienie wyników analizy – Scenariusz C, wariant z RSS.	58

Tab. 55. Zestawienie wyników całkowitych kosztów inkrementalnych wszystkich wariantów niniejszej analizy.	60
Tab. 56. Procentowy udział ceny leku w całkowitych wydatkach w danym roku.	63

Bibliografia

132/2024/DS.	Zarządzenie Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna
72/2025/DGL	Zarządzenie Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowe
Adams 2022	Adams D, Tournev IL, Taylor MS, et al. Efficacy and safety of vutrisiran for patients with hereditary transthyretin-mediated amyloidosis with polyneuropathy: a randomized clinical trial. <i>Amyloid</i> . 2023;30(1):1-9.
AE Amvuttra 2025	Amvuttra® (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza ekonomiczna. HealthQuest. 2025
AKL Amvuttra 2025	Amvuttra® (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza kliniczna. HealthQuest. 2025
AOTMiT 2016	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Wersja 3.0, Warszawa. sierpień 2016
APD Amvuttra 2025	Amvuttra® (wutrisyran) w leczeniu dorosłych pacjentów z kardiomiopatią w przebiegu amyloidozy transtyretynowej. Analiza problemu decyzyjnego. HealthQuest. 2025
Coelho 2023	Coelho T, Waddington Cruz M, Chao CC, et al. Characteristics of Patients with Hereditary Transthyretin Amyloidosis-Polyneuropathy (ATTRv-PN) in NEURO-TTRansform, an Open-label Phase 3 Study of Eplontersen. <i>Neurol Ther</i> . 2023;12(1):267-287.
Delgado 2025	Delgado D, Dabbous F, Shivappa N, et al. Epidemiology of transthyretin (ATTR) amyloidosis: a systematic literature review. <i>Orphanet J Rare Dis</i> . 2025;20(1):29. Published 2025 Jan 16.
Gracia-Pavia 2021	Garcia-Pavia P, Bengel F, Brito D, et al. Expert consensus on the monitoring of transthyretin amyloid cardiomyopathy. <i>Eur J Heart Fail</i> . 2021;23(6):895-905.
IkarPro	Źródło internetowe: https://ikarpro.pl/pl/baza/#/drugProgrammes/salesReimbursement?group_id=sprzedaz&id=nfz&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 r.
Informator o umowach	Źródło internetowe: https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search?Year=2023&Branch=02 Data ostatniego dostępu: 22.10.2025 r.
Lousada 2017	Lousada I, Maurer M, Warner M, et al. Amyloidosis research consortium cardiac amyloidosis survey: Results from patients with ATTR amyloidosis and their caregivers. Poster session presented at: first European meeting for ATTR amyloidosis for doctors and patients; 2017 November 2-3, Paris, France.
Obiawieszczenie MZ	Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 września 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2025 r.
Protokoły z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego	Źródło internetowe:

	https://www.nfz.gov.pl/dla-swadczeniodawcy/zespoly-koordynacyjne/zespoly-koordynujace/zespoly-koordynacyjny-ds-leczenia-kardiomiopatii-protokoly-z-posiedzen,226.html . Data ostatniego dostępu: 27.04.2026 r.
Raport refundacyjny	Raport refundacyjny dotyczący wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń-grudzień 2025 r.
Rozenbaum 2021	Rozenbaum MH, Large S, Bhambri R, et al. Impact of Delayed Diagnosis and Misdiagnosis for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy (ATTR-CM): A Targeted Literature Review. <i>Cardiol Ther.</i> 2021;10(1):141-159.
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
Schmidt 208	Schmidt HH, Waddington-Cruz M, Botteman MF, et al. Estimating the global prevalence of transthyretin familial amyloid polyneuropathy. <i>Muscle Nerve.</i> 2018;57(5):829-837.
Sobczyńska-Kilias 2023	HSD120 Tafamidis in the Treatment of Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy in Poland: Epidemiological Data and Demographic Data from an Expanded Access Program. Sobczyńska-Kilias, A. et al. <i>Value in Health, Volume 26, Issue 12, S317</i>
Statystyki NFZ	Źródło internetowe: https://statystyki.nfz.gov.pl/ . Data ostatniego dostępu: 22.10.2025 r.
Witteles 2019	Witteles RM, Bokhari S, Damy T, et al. Screening for Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy in Everyday Practice. <i>JACC Heart Fail.</i> 2019;7(8):709-716. doi:10.1016/j.jchf.2019.04.010
Witteles 2025	Witteles RM, Garcia-Pavia P, Damy T, et al. Vutrisiran Improves Survival and Reduces Cardiovascular Events in ATTR Amyloid Cardiomyopathy: HELIOS-B. <i>J Am Coll Cardiol.</i> Published online April 30, 2025.
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)