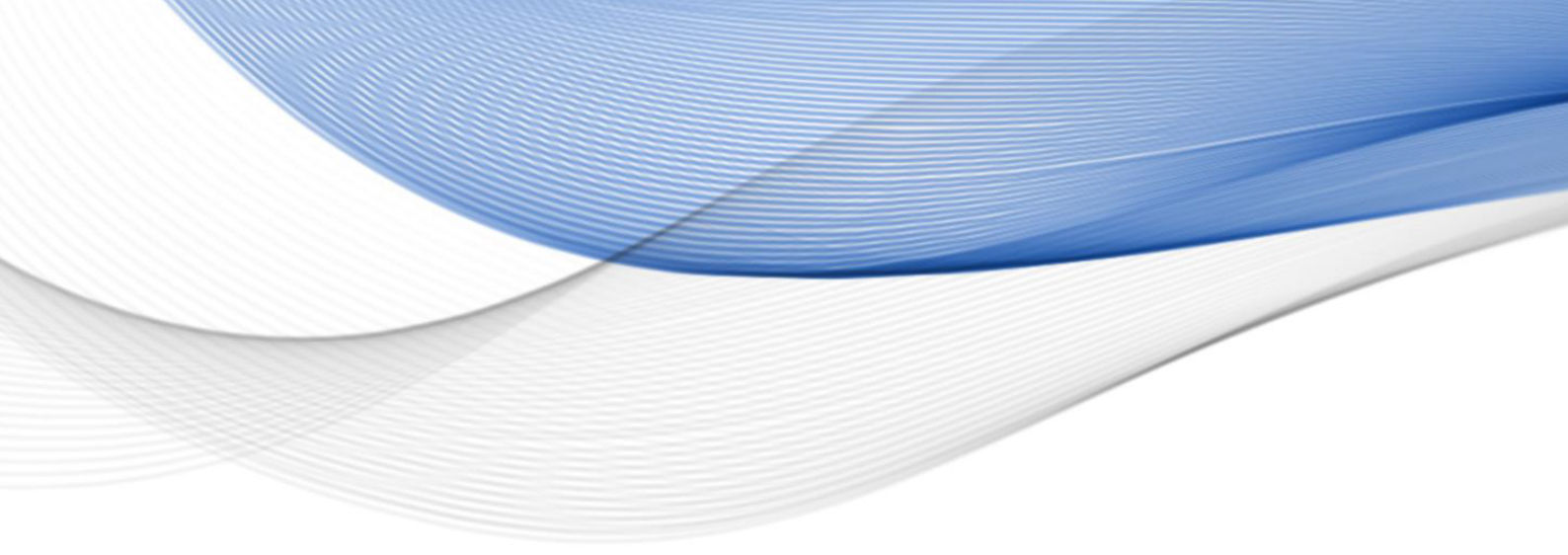




Elafibranor (Iqirvo[®]) w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, kwiecień 2026

Autorzy

[REDACTED]

Konsultacje

[REDACTED]

[REDACTED]

Dane kontaktowe

HealthQuest spółka z ograniczoną odpowiedzialnością
ul. Mickiewicza 12 lokal 2a
01-517 Warszawa
tel/fax +48 22 468 05 34
kontakt@healthquest.pl
<http://www.healthquest.pl>

Zamawiający

Ipsen Poland sp. z o.o.
ul. Chmielna 73
00-801 Warszawa, Poland

Informacje dodatkowe

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Ipsen Poland sp. z o.o.

Spis treści

Spis treści.....	2
Wykaz skrótów i akronimów	4
Streszczenie	5
1 Cel analizy	7
2 Metodyka.....	8
2.1 Populacja.....	9
2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	9
2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku	10
2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana ..	12
2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	12
2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	15
2.2 Opis modelu.....	15
2.3 Perspektywa analizy	16
2.4 Horyzont czasowy analizy	16
2.5 Analizowane koszty	17
2.5.1 Koszt wnioskowanego leku	17
2.5.2 Podsumowanie danych kosztowych wykorzystanych w modelu	19
2.6 Scenariusze analizy	22
2.6.1 Scenariusz istniejący.....	22
2.6.2 Scenariusze nowe	22
2.7 Analiza wrażliwości	23
3 Wyniki	24
3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ	24
3.2 Analiza podstawowa	24
3.2.1 Wariant najbardziej prawdopodobny	24
3.2.2 Wariant minimalny	25
3.2.3 Wariant maksymalny.....	27
3.3 Analiza wrażliwości	28
3.3.1 Wariant populacji	28
3.3.2 Wariant kosztów	30
4 Ograniczenia i dyskusja	33
5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń	35

6	Wnioski	36
	Spis tabel	37
	Bibliografia	38

Wykaz skrótów i akronimów

AE	analiza ekonomiczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	Analiza Weryfikacyjna Agencji
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
ELA	elafibranor
GUS	Główny Urząd Statystyczny
MZ	Minister Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
OCA	kwas obetycholowy (ang. <i>obeticholic acid</i>)
PBC	pierwotne zapalenie dróg żółciowych (ang. <i>Primary biliary cholangitis</i>)
PLN	Polski Złoty
RDTL	ratunkowy dostęp do technologii lekowej
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)
SoC	standardowe leczenie (ang. <i>Standard of care</i>)
UDCA	Kwas ursodeoksycholowy (ang. <i>ursodeoxycholic acid</i>)

Streszczenie

Cel pracy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych Iqirvo® (elafibranor) finansowaniem w ramach programu lekowego w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA.

Metody i dane wejściowe

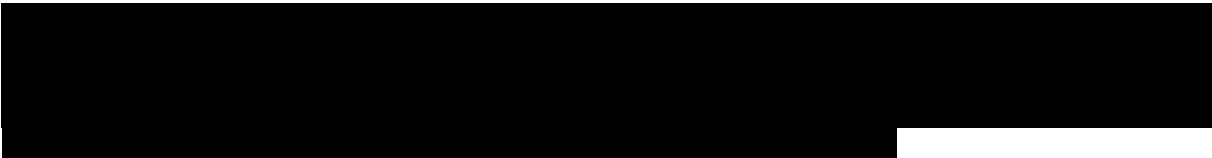
Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w horyzoncie 2 kolejnych lat (2026-2027). Analizę kosztów terapii Iqirvo® (elafibranor) przeprowadzono na tle kosztów terapii SoC (koszty leków oraz zdarzeń niepożądanych). Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych literaturowych, danych GUS oraz pochodzących z AWA Ocaliva. W analizie uwzględniono koszty zakupu leków oraz leczenia zdarzeń niepożądanych. Wszystkie dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym oszacowano obecne koszty leczenia pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu braku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii, oraz scenariusze nowe (warianty: najbardziej prawdopodobny, mi-nimalny i maksymalny), w których szacowano koszty terapii przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii lekowej. W analizie przedstawiono wariant, w którym wnioskowana terapia jest refundowana w ramach nowej grupy limitowej w katalogu B.

W niniejszym streszczeniu ograniczono opis wyników do wyników dla całej wnioskowanej populacji z uwzględnieniem umów podziału ryzyka, ze względu na fakt, iż dla płatnika publicznego są to najistotniejsze i najbardziej informatywne wyniki.

Wyniki

Liczebność populacji objętej leczeniem z wykorzystaniem Iqirvo® oszacowano na:





Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla terapii Iqirvo® (elafibranor) w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA, będzie wiązać się ze wzrostem wydatków refundacyjnych o [redacted] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

1 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych Iqirvo® (elafibranor) finansowaniem w ramach programu lekowego w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA.

2 Metodyka

W niniejszym rozdziale przedstawiono zestawienie tabelaryczne wartości i wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań dotyczących:

- rocznej liczebności populacji;
- rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (zwana dalej ustawą refundacyjną), lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy refundacyjnej;
- aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;
- dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, w tym minimalnych i maksymalnych wariantów dla tego oszacowania;
- ilościowej prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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 decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy refundacyjnej
- ilościowej prognozy rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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 wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy refundacyjnej.

W analizie zdefiniowano scenariusz istniejący: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny oraz scenariusze nowe: najbardziej prawdopodobny oraz minimalny i maksymalny (patrz Rozdział 2.6.1 oraz 2.6.2).

2.1 Populacja

2.1.1 Szacowanie liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, preparat Iqirvo® zarejestrowany jest w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (ang. *primary biliary cholangitis*, PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (ang. *ursodeoxycholic acid*, UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA.

Według publikacji Gazda 2021, zapadalność na pierwotne zapalenie dróg żółciowych (PBC) wynosi 1,87 (1,46-2,34) na 100 000 osób, a rozpowszechnienie choroby to 22,27 (17,98-27,01) na 100 000 osób. Przy uwzględnieniu liczebności populacji Polski w 2024 roku [GUS 2024], szacowana liczba chorych na PBC wynosi 9 054 (7 291-11 008). PBC jest schorzeniem, które hepatolodzy często diagnozują późno, dlatego odsetek pacjentów, u których choroba została rozpoznana, wynosi 47% (42%-51%) [AWA Ocaliva]. Oznacza to, że liczba zdiagnozowanych przypadków wynosi 4 278 (3 073-5 637). Większość pacjentów z rozpoznanym PBC, bo aż 85%, jest leczona kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) [AWA Ocaliva; raport NFZ]. Jednak u 33% z nich odpowiedź na leczenie jest niepełna [Roberts 2024], a 7,5% (5%-10%) w ogóle nie toleruje UDCA [AWA Ocaliva, ELATIVE]. Liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię, wynosi 1 471 (943 - 2 218).

Tab. 1. Liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Populacja	Odsetek	Liczebność populacji	Źródło
Populacja w Polsce		37 507 000	GUS 2024
Zapadalność na PBC	1,87 (1,46 - 2,34)/100 000	701 (548 - 878)	Gazda 2021
Rozpowszechnienie PBC	22,27 (17,98 - 27,01) /100 000	8 353 (6 744 - 10 131)	Gazda 2021
Pacjenci z PBC		9 054 (7 291 - 11 008)	
Pacjenci ze zdiagnozowanym PBC	47% (42% - 51%)	4 278 (3 073 - 5 637)	Obliczenia własne na podstawie danych NFZ z AWA dla leku Ocaliva
Pacjenci ze zdiagnozowanym PBC leczeni UDCA	85% (81% - 92%)	3 632 (2 483 - 5 159)	Obliczenia własne na podstawie danych NFZ z AWA dla leku Ocaliva; raport NFZ
Pacjenci z niepełną odpowiedzią na UDCA	33%	1 199 (819 - 1 702)	Roberts 2024

Populacja	Odsetek	Liczebność populacji	Źródło
Pacjenci z nietolerancją UDCA	7,5% (5% - 10%)	272 (124 - 516)	AWA Ocaliva, ELATIVE
Pacjenci z nietolerancją lub niepełną odpowiedzią na UDCA		1 471 (943 - 2 218)	

PBC - pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (ang. *primary biliary cholangitis*); GUS - Główny Urząd Statystyczny; UDCA - kwas ursodeoksycholowy (ang. *ursodeoxycholic acid*); NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia; AWA - Analiza Weryfikacyjna Agencji.

2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku

Wnioskowane wskazanie refundacyjne dla produktu leczniczego Iqirvo® brzmi:

leczenie pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (ang. *primary biliary cholangitis*, PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (ang. *ursodeoxycholic acid*, UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA.

Według publikacji Gazda 2021, zapadalność na pierwotne zapalenie dróg żółciowych (PBC) wynosi 1,87 (1,46-2,34) na 100 000 osób, a rozpowszechnienie choroby to 22,27 (17,98-27,01) na 100 000 osób. Przy uwzględnieniu liczebności populacji Polski w 2024 roku [GUS 2024], szacowana liczba chorych na PBC wynosi 8 353 (6 744 - 10 131) oraz 701 (548 - 878) nowo zdiagnozowanych. PBC jest schorzeniem, które hepatolodzy często diagnozują późno, dlatego odsetek pacjentów, u których choroba została rozpoznana, wynosi 47% (42%-51%) [AWA Ocaliva]. Oznacza to, że liczba zdiagnozowanych przypadków wynosi odpowiednio, 3 946 (2 842 - 5 187) oraz 331 (231-449). Większość pacjentów z rozpoznaniem PBC, bo aż 85%, jest leczona kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) [AWA Ocaliva; raport NFZ]. Jednak u 33% z nich odpowiedź na leczenie jest niepełna [Roberts 2024], a 7,5% (5%-10%) w ogóle nie toleruje UDCA [AWA Ocaliva, ELATIVE]. Pacjenci nowo zdiagnozowani nie stosują żadnego leczenia, jednak spośród tych chorych którzy są leczeni, 40% nie stosuje fibratów [AWA Ocaliva]. Choć fibraty nie są zarejestrowane do leczenia PBC, są powszechnie stosowane off-label w polskiej praktyce klinicznej. Trzeba również założyć, że nie każdy specjalista zdecyduje się na stosowanie elafibranoru, dlatego założono, że 90% pacjentów z wyliczonej populacji będzie leczonych wnioskowaną terapią (założenie przyjęte w AWA Ocaliva). Liczba pacjentów, u których można zastosować wnioskowaną technologię wynosi 592 (378 - 894) w 1. roku oraz 694 (442 - 1053) w 2-gim roku (suma pacjentów z 1 roku powiększona o nowozdiagnozowanych).

Tab. 2. Liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku.

Populacja	Odsetek	Liczebność populacji - zapadalność	Liczebność populacji - rozpowszechnienie	Źródło
Populacja w Polsce		37 507 000	37 507 000	GUS 2024
Zapadalność/rozpowszechnienie PBC	1,87 (1,46 - 2,34) / 100 000 22,27 (17,98 - 27,01) / 100 000	701 (548 - 878)	8 353 (6 744 - 10 131)	Gazda 2021
Pacjenci ze zdiagnozowanym PBC	47% (42% - 51%)	331 (231-449)	3 946 (2 842- 5 187)	Obliczenia własne na podstawie danych NFZ z AWA dla leku Ocaliva
Pacjenci ze zdiagnozowanym PBC leczeni UDCA	85% (81% - 92%)	281 (186-411)	3 351 (2 296- 4 748)	Obliczenia własne na podstawie danych NFZ z AWA dla leku Ocaliva; raport NFZ
Pacjenci z niepełną odpowiedzią na UDCA	33%	93 (62-136)	1 106 (758- 1 567)	Roberts 2024
Pacjenci z nietolerancją UDCA	7,5% (5% - 10%)	21 (9-41)	251 (115 - 475)	AWA Ocaliva, ELATIVE
Pacjenci z nietolerancją lub niepełną odpowiedzią na UDCA		114 (71-177)	1 357 (873 - 2 042)	
Pacjenci stosujący fibraty	40%		543 (349 - 817)	AWA Ocaliva
Rzeczywista liczba pacjentów potencjalnie kwalifikowanych do leczenia	90%	103 (64-159)	489 (314 - 735)	AWA Ocaliva
Populacja docelowa - 1 rok			591 (378 - 894)	
Populacja docelowa - 1 rok			694 (442 - 1053)	

PBC - pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (ang. *primary biliary cholangitis*); GUS - Główny Urząd Statystyczny; UDCA - kwas ursodeoksycholowy (ang. *ursodeoxycholic acid*); NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia; AWA - Analiza Weryfikacyjna Agencji.

2.1.3 Szacowanie liczebności populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Zgodnie z informacjami dostarczonymi przez wnioskodawcę, liczba pacjentów, którzy otrzymują elafibranor w PBC w ramach RDTL wynosi [REDACTED]

2.1.4 Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Szacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją przeprowadzono w oparciu o szacunki liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku.

Zdefiniowano trzy warianty analizy:

- najbardziej prawdopodobny, w którym przyjęto średnie wartości liczebności populacji włączanej do terapii;
- minimalny, w którym przyjęto minimalne wartości liczebności populacji włączanej do terapii;
- maksymalny, w którym przyjęto maksymalne wartości liczebności populacji włączanej do terapii;

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

Tab. 3 Odsetki przejęcia rynku.

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji przedstawione w rozdziałach 2.1.1-2.1.4 zestawiono w tabeli poniżej.

Tab. 7. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.

Populacja	Liczebność populacji		Odnosnik do rozdziału i tabeli
	1. rok	2. rok	
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku	591 (378 - 894)	694 (442 - 1053)	Rozdział 2.1.2, Tab. 2
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana			Rozdział 2.1.3
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant najbardziej prawdopodobny			Rozdział 2.1.4, Tab. 4
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant minimalny			Rozdział 2.1.4, Tab. 4
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym wariant maksymalny			Rozdział 2.1.4, Tab. 4

2.2 Opis modelu

Model analizy wpływu na budżet oparto na założeniach i wynikach modelu analizy ekonomicznej (patrz załączona dokumentacja – analiza ekonomiczna [AE Iqirvo]). Model BIA opiera się na silniku modelu ekonomicznego (arkusze model są ukryte z wyjątkiem arkusza „Settings”).

Ze względu na kryteria włączenia do Programu Lekowego użyto danych, które uwzględniają odpowiedź na leczenie według wyniku ryzyka PARIS II. Kryteria kwalifikacji obejmują aktywność ALP $\geq 1,67 \times$ górna granica normy oraz poziom bilirubiny całkowitej $\leq 2 \times$ GGN. Kryteria te nie obejmują pacjentów z niskim ryzykiem progresji choroby. Początkowy rozkład pacjentów pomiędzy stanami zdrowia dla analizy uwzględniającej odpowiedź na leczenie

według wyniku ryzyka PARIS II jest spójny z tym założeniem. Natomiast, odpowiedź na leczenie według PARIS II nie odbiega znacząco od oceny skuteczności leczenia w Programie Lekowym, które obejmują osiągnięcie aktywności ALP $< 1,67 \times$ górna granica normy oraz gdy bilirubina osiągnie stężenie $<$ górnej granicy normy. Punktacja ryzyka wg skali Paris II, zdefiniowana jest jako ALP $\leq 1,5 \times$ górna granica normy i AST $\leq 1,5 \times$ górna granica normy oraz bilirubina w granicach normy.

W modelu BIA również uwzględniono 3-miesięczny cykl analizy – właściwy horyzont modelu zamyka się w 8 cyklach tj. 2 lata. W BIA, w zakresie danych kosztowych wykorzystano dane z modelu ekonomicznego tj. zsumowano koszty dla kolejnych kwartałów analizowanego horyzontu.

Kalkulator BIA składa się 6 głównych arkuszy:

- „Ustawienia” – arkusz umożliwiający wybranie analizowanej perspektywy oraz wybranie wariantu analizy;
- „Populacja_rozpowszechnienie” oraz „Populacja_zapadalność” – arkusze z szacunkami populacji docelowej kwalifikującej się do leczenia elafibranorem + UDCA/UDCA;
- „Dane kosztowe” – arkusz z danymi kosztowymi;
- „Wyniki” – arkusz z wynikami analizy;
- „Referencje” – arkusz z referencjami prac wykorzystanych w zakresie szacowania liczebności populacji.

Dodatkowo kalkulator zawiera arkusze pomocnicze i obliczeniowe w tym:

Arkusze obliczeniowe:

- „SoC - nowy”, „Elafibranor - nowy” – obliczenia dla scenariuszy nowych;
- „SoC - obecny”, „Elafibranor - obecny” – obliczenia dla scenariuszy istniejących.

2.3 Perspektywa analizy

Zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2023] analizę należy przeprowadzić z perspektywy podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ).

Ze względu na zakładany sposób finansowania produktu leczniczego Iqirvo® (wnioskowane jest finansowanie w ramach nowej grupy limitowej w wykazie B w bezpłatnym programie lekowym) nie dochodzi do współpłacenia przez pacjenta, dlatego nie przeprowadzano dodatkowej analizy kosztów ponoszonych przez pacjenta.

2.4 Horyzont czasowy analizy

W analizie przyjęto dwuletni horyzont obserwacji. Przyjęty horyzont analizy wynika z czasu obowiązywania decyzji refundacyjnej. Mając na uwadze termin przygotowania analizy i czas

konieczny na przeprowadzenie postępowania administracyjnego dotyczącego wniosku o refundację, horyzont czasowy obejmuje lata: 2026 – 2027.

2.5 Analizowane koszty

W wariantcie podstawowym analizy wpływu na budżet uwzględniono jedynie koszt leczenia i koszty działań niepożądanych. Jest to ograniczenie modelu, testowane w analizie wrażliwości i wynika z faktu, że model ekonomiczny nie uwzględnia kryterium przerwania leczenia po 12 miesiącach związanego z brakiem skuteczności leczenia.

2.5.1 Koszt wnioskowanego leku

2.5.1.1 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku

Uzasadnienie kategorii odpłatności

Wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej grupy limitowej w ramach wykazu B obwieszczenia refundacyjnego w bezpłatnym programie lekowym.

Zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych Minister właściwy do spraw zdrowia, wydając decyzję o objęciu refundacją, dokonuje kwalifikacji leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanego w ramach programu lekowego do odpłatności 0 PLN.

W związku z powyższym, Iqirvo® kwalifikuje się do poziomu refundacji poziomu refundacji 100% (kategoria odpłatności dla pacjenta: bezpłatne).

Uzasadnienie kwalifikacji do grupy limitowej

Wnioskowane jest wprowadzenie finansowania leku Iqirvo® ze środków publicznych w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych w ramach programu lekowego.

1. Nie zidentyfikowano grupy limitowej, w której byłyby leki o tej samej nazwie międzynarodowej lub innej nazwie międzynarodowej, ale podobnym działaniu terapeutycznym i zbliżonym mechanizmie działania do leku Iqirvo® - brak spełnienia kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.

2. Nie zidentyfikowano również grupy limitowej, w której byłyby leki uzyskujące podobny efekt zdrowotny lub podobny dodatkowy efekt zdrowotny do leku Iqirvo®, pomimo odmiennych mechanizmów działania leków - brak spełnienia kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy zezwalających na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej.

Iqirvo® jest lekiem, co oznacza, że art. 15 ust. 3 pkt 3 ustawy odnoszący się do środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego nie znajduje zastosowania.

W Analizie klinicznej [AK Iqirvo] wykazano, że stosowanie elafibranoru daje dodatkowe efekty zdrowotne w porównaniu do standardowego postępowania - spełnienie kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 pkt 1 ustawy zezwalających na utworzenie nowej grupy limitowej.

W związku z powyższym, ze względu na brak spełnienia kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 ustawy i zapisów art. 15 ust. 3 pkt 2 wskazujących na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej oraz uzyskiwane efekty zdrowotne i dodatkowe efekty zdrowotne wykazane w ramach Analizy klinicznej (spełnienie kryteriów wymienionych w art. 15 ust. 2 pkt 1 zezwalających na utworzenie odrębnej grupy limitowej) wnioskowane jest utworzenie nowej grupy limitowej.

2.5.1.2 Koszt Iqirvo®

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy dotyczy produktu leczniczego Iqirvo®, 80 mg, 30 tabletek powlekanych.

Wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej grupy limitowej w ramach wykazu B w bezpłatnym programie lekowym.

Wnioskowana jest refundacja Iqirvo® w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA w ramach bezpłatnego programu lekowego (wykaz B).

Ze względu na brak spełnienia kryteriów wymienionych w ustawie refundacyjnej tj. art. 15 ust. 2 ustawy i zapisów art. 15 ust. 3 pkt 2, wskazujących na kwalifikację do istniejącej grupy limitowej oraz uzyskiwane efekty zdrowotne i dodatkowe efekty zdrowotne wykazane w ramach analizy klinicznej wnioskowana jest refundacja Iqirvo® w ramach nowej grupy limitowej.

Oszacowanie cen i odpłatności Iqirvo® przedstawiono w Tab. 8.

Tab. 8. Ceny Iqirvo®.

Kategoria	Iqirvo®
Cena zbytu netto (PLN)	
Urzędowa cena zbytu (PLN)	
Cena hurtowa brutto (PLN)	
Wysokość limitu finansowania (PLN)	
Odpłatność (%)	
Wysokość dopłaty świadczeniobiorcy (PLN)	
Koszt NFZ (PLN)	

NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia

[illegible]

Wszystkie dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Dane są zaciągane z silników modelu ekonomicznego (komórki w arkuszach „Markov Trace (Elafibranor)”, „Markov Trace (UDCA)” oraz „Koszt Elafibranor”).

W tabelach poniżej (Tab. 9, Tab. 10, Tab. 11) zestawiono dane kosztowe dla poszczególnych cykli terapii wykorzystane w modelu.

Tab. 9. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Iqirvo® - scenariusz obecny.

Rok	Cykl	Koszt leczenia (PLN)	Koszty zdarzeń niepożądanych (PLN)	Koszt elafibranoru (PLN)	Koszt stanu zdrowia (PLN)	Koszt świadczenia (PLN)
1	1	■	■	■	■	■
1	2	■		■	■	■
1	3	■		■	■	■
1	4	■		■	■	■
2	5	■		■	■	■
2	6	■		■	■	■
2	7	■		■	■	■
2	8	■		■	■	■

Tab. 10. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Iqirvo® - scenariusz nowy.

Rok	Cykl	Koszt leczenia (PLN)	Koszty zdarzeń niepożądanych (PLN)	Koszt elafibranoru (PLN)	Koszt stanu zdrowia (PLN)	Koszt świadczenia (PLN)
1	1	■	■	■	■	■
1	2	■		■	■	■
1	3	■		■	■	■
1	4	■		■	■	■
2	5	■		■	■	■
2	6	■		■	■	■
2	7	■		■	■	■
2	8	■		■	■	■

Tab. 11. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC.

Rok	Cykl	Koszt leczenia (PLN)	Koszty zdarzeń niepożądanych (PLN)	Koszt stanu zdrowia (PLN)	Koszt świądu (PLN)
1	I				
1	I				
1	I				
1	I				
2	I				
2	I				
2	I				
2	I				

2.6 Scenariusze analizy

2.6.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący odpowiada ilościowej prognozie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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 decyzji o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy.

W scenariuszu istniejącym założono, że we wnioskowanej populacji nie jest refundowane leczenie preparatem Iqirvo®, a jedynie stosowane jest SoC.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono liczebność populacji docelowej, której szczegółowe uzasadnienie przedstawiono w rozdziale 2.1.2.

Tab. 12. Zestawienie założeń scenariusza obecnego analizy.

Zmienna testowana	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie zmienności
Liczebność populacji docelowej	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	Patrz rozdział 2.1.2
Liczebność populacji stosującej Iqirvo®	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	Założenie o braku refundacji Iqirvo®, leczenie otrzymują jedynie pacjenci w ramach RDTL

2.6.2 Scenariusze nowe

Warianty scenariusza nowego odpowiadają ilościowej prognozie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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 wyda decyzję o objęciu refundacją, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy.

Scenariusz nowy zdefiniowano w niniejszej analizie jako wprowadzenie preparatu Iqirvo® do refundacji.

W scenariuszu nowym uwzględniono zmienność parametru:

- liczebność populacji stosującej Iqirvo®.

Powyższy parametr posłużył do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza nowego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 13. Uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (rozdział 2.1.4).

Tab. 13. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.

Zmienna testowana	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie zmienności
Liczebność populacji docelowej	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	Patrz rozdział 2.1.2
Liczebność populacji stosującej Iqirvo®	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	Patrz rozdział 2.1.4

2.7 Analiza wrażliwości

W ramach analizy wrażliwości przetestowano 2 warianty

[REDACTED]

- wariant szacowania wszystkich kategorii kosztów - patrz rozdział 2.5.2.

3 Wyniki

3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku są tożsame z kosztami obliczonymi dla scenariusza istniejącego (patrz rozdział 3.2).

3.2 Analiza podstawowa

3.2.1 Wariant najbardziej prawdopodobny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą 43 622 674 PLN i 113 444 833 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii 43 111 392 PLN i 112 514 566 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 37 495 463 PLN i 102 331 853 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Tab. 14. Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®	43 111 392	112 514 566	43 111 392	112 514 566	43 111 392	112 514 566
Koszt SoC	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833
Koszty zdarzeń niepożądanych	0	0	0	0	0	0
Łączny koszt w danym roku analizy	156 556 225	225 959 400	156 556 225	225 959 400	156 556 225	225 959 400
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®	43 111 392	112 514 566	43 111 392	112 514 566	43 111 392	112 514 566
Koszt SoC	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833	113 444 833
Koszty zdarzeń niepożądanych	0	0	0	0	0	0

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						

ELA - elafibranor; SoC - Kwas ursodeoksycholowy (ang. *ursodeoxycholic acid*); SoC - Standardowe leczenie (ang. *Standard of care*).

3.2.2 Wariant minimalny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą 27 887 330 PLN i 72 340 873 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii 27 560 679 PLN i 71 747 938 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 22 712 864 PLN i 64 126 804 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Tab. 15. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®	1	1	1	1	1	1
Koszt SoC	1	1	1	1	1	1
Koszty zdarzeń niepożądanych	1	1	1	1	1	1
Łączny koszt w danym roku analizy	1	1	1	1	1	1
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®	1	1	1	1	1	1
Koszt SoC	1	1	1	1	1	1
Koszty zdarzeń niepożądanych	1	1	1	1	1	1
Łączny koszt w danym roku analizy	1	1	1	1	1	1
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®	1	1	1	1	1	1
Koszt SoC	1	1	1	1	1	1
Koszty zdarzeń niepożądanych	1	1	1	1	1	1
Łączny koszt w danym roku analizy	1	1	1	1	1	1
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®	1	1	1	1	1	1
Koszt SoC	1	1	1	1	1	1
Koszty zdarzeń niepożądanych	1	1	1	1	1	1
Łączny koszt w danym roku analizy	1	1	1	1	1	1
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®	1	1	1	1	1	1
Koszt SoC	1	1	1	1	1	1

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						

ELA - elafibranor; SoC - Kwas ursodeoksycholowy (ang. *ursodeoxycholic acid*); SoC - Standardowe leczenie (ang. *Standard of care*).

3.2.3 Wariant maksymalny

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą 65 989 876 PLN i 172 024 462 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii 61 750 962 PLN i 167 519 619 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 58 506 993 PLN i 156 781 809 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Tab. 16. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						

ELA - elafibranor; SoC - Kwas ursodeoksycholowy (ang. *ursodeoxycholic acid*); SoC - Standardowe leczenie (ang. *Standard of care*).

3.3 Analiza wrażliwości

3.3.1 Wariant populacji

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Scenariusz nowy						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszty preparatu Iqirvo®						
Koszt SoC						
Koszty zdarzeń niepożądanych						
Łączny koszt w danym roku analizy						

ELA - elafibranor;; SoC - Standardowe leczenie (ang. *Standard of care*).

3.3.2 Wariant kosztów

Dla wariantu analizy bez uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii w populacji docelowej wyniosą 45 796 689 PLN i 119 603 876 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii 43 111 392 PLN i 112 514 566 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie ze wzrostem wydatków refundacyjnych NFZ o 37 281 161 PLN i 100 211 418 PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Scenariusz ten stanowi odpowiednio 99,3% i 97,3% kosztów inkrementalnych 1. i 2. roku obliczonych dla analizy podstawowej.

Tab. 18. Zestawienie wyników dla wariantu kosztowego analizy wrażliwości.

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■
Scenariusz nowy						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■

Kategoria kosztów	ELA		SoC		SUMA	
	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok	1. rok	2. rok
Scenariusz nowy						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt preparatu Iqirvo®	■	■	■	■	■	■
Koszt SoC	■	■	■	■	■	■
Koszt zdarzeń niepożądanych	■	■	■	■	■	■
Koszt stanu zdrowia	■	■	■	■	■	■
Koszt świadczeń	■	■	■	■	■	■
Łączny koszt w danym roku analizy	■	■	■	■	■	■

ELA - elafibranor;; SoC - Standardowe leczenie (ang. *Standard of care*).

4 Ograniczenia i dyskusja

Celem analizy było oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych Iqirvo® (elafibranor) finansowaniem w ramach programu lekowego w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA.

Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w horyzoncie 2 kolejnych lat (2026-2027). Analizę kosztów terapii Iqirvo® (elafibranor) przeprowadzono na tle kosztów SoC. Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych literaturowych, danych GUS oraz pochodzących z AWA Ocaliva. W analizie uwzględniono koszty zakupu leków oraz leczenia zdarzeń niepożądanych. Wszystkie dane kosztowe wykorzystane w analizie wpływu na budżet pochodzą bezpośrednio z arkusza kalkulacyjnego modelu ekonomicznego wykorzystanego w analizie ekonomicznej. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym oszacowano obecne koszty leczenia pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu braku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii, oraz scenariusze nowe (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w których szacowano koszty terapii przy założeniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii lekowej. W analizie przedstawiono wariant, w którym wnioskowana terapia jest refundowana w ramach nowej grupy limitowej w katalogu B w bezpłatnym programie lekowym.

We wszystkich analizowanych wariantach analizy (najbardziej prawdopodobny, minimalny, maksymalny) wskazano na spodziewany wzrost kosztów po stronie płatnika publicznego w sytuacji objęcia refundacją terapii Iqirvo®.

Biorąc po uwagę cofnięcie pozwolenia na dopuszczenie OCA do obrotu w Unii Europejskiej oraz stosowanie pochodnych kwasu fibrynowego poza rejestracją, w tej grupie chorych istnieje niezaspokojona potrzeba medyczna, ponieważ opcje terapeutyczne dostępne dla chorych na PBC są bardzo ograniczone.

W zakresie ograniczeń analizy należy wymienić następujące kwestie:

- Niepewności dotyczące rzeczywistego stosowania leku - w analizie wykorzystano dane z modelu ekonomicznego opartego na badaniu klinicznym.
- Niepewność dotycząca liczebności populacji pacjentów. Dane dotyczące liczby pacjentów z wnioskowanym wskazaniem oraz włączanej do leczenia terapią Iqirvo® pochodzą z danych literaturowych, GUS oraz z AWA Ocaliva. Niepewności odnośnie do

liczby pacjentów kwalifikujących się do leczenia wnioskowaną technologią testowano w wariancie minimalnym oraz maksymalnym.

5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń

Nie zidentyfikowano żadnego istotnego wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla omawianej technologii na aspekty etyczne, społeczne, prawne a także organizację udzielania świadczeń.

6 Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla terapii Iqirvo® (elafibranor) w leczeniu pierwotnego zapalenia dróg żółciowych (PBC) w skojarzeniu z kwasem ursodeoksycholowym (UDCA) u osób dorosłych, u których stwierdzono niewystarczającą odpowiedź na leczenie z zastosowaniem UDCA lub w monoterapii u pacjentów, u których stwierdzono nietolerancję UDCA, będzie wiązać się ze wzrostem wydatków refundacyjnych o [REDACTED] [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Spis tabel

Tab. 1. Liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	9
Tab. 2. Liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku.....	11
Tab. 3 Odsetki przejęcia rynku.	12
Tab. 4. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją preparatu Iqirvo® - wariant podstawowy.	13
Tab. 5. Liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku - wariant analizy wrażliwości (pacjenci z nietolerancją lub przeciwwskazaniami do fibratów).....	14
Tab. 6. Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją preparatu Iqirvo® - wariant analizy wrażliwości.	14
Tab. 7. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	15
Tab. 8. Ceny Iqirvo®.	18
Tab. 9. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Iqirvo® - scenariusz obecny.	20
Tab. 10. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia Iqirvo® - scenariusz nowy....	20
Tab. 11. Dane kosztowe wykorzystane w przypadku ramienia SoC.	21
Tab. 12. Zestawienie założeń scenariusza obecnego analizy.....	22
Tab. 13. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.	23
Tab. 14. Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.	24
Tab. 15. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.....	26
Tab. 16. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.	27
Tab. 17. Zestawienie wyników dla wariantu populacyjnego analizy wrażliwości.	29
Tab. 18. Zestawienie wyników dla wariantu kosztowego analizy wrażliwości.	31

Bibliografia

- Abbas 2023** Abbas N, Culver EL, Thorburn D, Halliday N, Crothers H, Dyson JK, Phaw A, Aspinall R, Khakoo SI, Kallis Y, Smith B, Patanwala I, McCune A, Chimakurthi CR, Hegade V, Orrell M, Jones R, Mells G, Thain C, Thain RM, Jones D, Hirschfield G, Trivedi PJ. UK-Wide Multicenter Evaluation of Second-line Therapies in Primary Biliary Cholangitis. Clin Gastroenterol Hepatol. 2023 Jun;21(6):1561-1570.e13. doi: 10.1016/j.cgh.2022.07.038. Epub 2022 Aug 9. PMID: 35961518.
- AE Iqirvo** Analiza Ekonomiczna Iqirvo. Warszawa 2026.
- AOTMiT 2016** Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA, ang. health technology assessment), wersja 3.0. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Warszawa, sierpień 2016
- AWA OCA** Wniosek o objęcie refundacją leku Ocaliva (kwas obetycholowy) w ramach programu lekowego: „Leczenie pierwotnego żółciowego zapalenia dróg żółciowych (ICD-10: K74.3)” Analiza weryfikacyjna. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2022/031/AWA/OT.4231.20.2022_Ocaliva_15092022_BIP_REOPTR.pdf [Dostęp: 11.08.2025]
- ELATIVE** Kowdley KV, Bowlus CL, Levy C, Akarca US, Alvares-da-Silva MR, Andreone P, Arrese M, Corpechot C, Francque SM, Heneghan MA, Invernizzi P, Jones D, Kruger FC, Lawitz E, Mayo MJ, Shiffman ML, Swain MG, Valera JM, Vargas V, Vierling JM, Villamil A, Addy C, Dietrich J, Germain JM, Mazain S, Rafailovic D, Taddé B, Miller B, Shu J, Zein CO, Schattenberg JM; ELATIVE Study Investigators' Group; ELATIVE Study Investigators' Group. Efficacy and Safety of Elafibranor in Primary Biliary Cholangitis. N Engl J Med. 2024 Feb 29;390(9):795-805.
- Gazda 2021** Gazda J, Drazilova S, Janicko M, Jarcuska P. The Epidemiology of Primary Biliary Cholangitis in European Countries: A Systematic Review and Meta-Analysis. Can J Gastroenterol Hepatol. 2021 Jun 19;2021:9151525.
- GUS 2024** Główny Urząd Statystyczny. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-stand-i-struktura-ludnosci-oraz-ruch-naturalny-w-przekroju-terytorialnym-w-2024-r-stand-w-dniu-30-06,6,37.html> [Dostęp: 11.08.2025]
- Raport NFZ** Raport NFZ - eZdrowie. Zestawienie Cholestaz. <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/badania-i-dane/zdrowe-dane/zestawienia/cholestaz-watroba-swiadczenia-2024> [Dostęp: 11.08.2025]
- Roberts 2024** Roberts SB, Choi WJ, Worobetz L, Vincent C, Flemming JA, Cheung A, Qumosani K, Swain M, Grbic D, Ko HH, Peltekian KM, Abrahamyan L, Saini M, Tirona K, Aziz B, Lytvyak E, Invernizzi P, Ponsioen CY, Bruns T, Cazzagon N, Lindor K, Dalekos GN, Gatselis NK, Verhelst X, Floreani A, Corpechot C, Mayo MJ, Levy C, Londoño MC, Battezzati PM, Pares A, Nevens F, van der Meer A, Kowdley KV, Trivedi PJ, Lleo A, Thorburn D, Carbone M, Selzner N, Gulamhusein AF, Janssen H, Montano-Loza AJ, Mason AL, Hirschfield GM, Hansen BE; Canadian Network for Autoimmune Liver disease (CaNAL). Loss of biochemical response at any time worsens outcomes in UDCA-treated patients with primary biliary cholangitis. JHEP Rep. 2024 Jul 8;6(10):101168.
- Rozporządzenie MZ 2023** Rozporządzenie z dnia 24 października 2023 r. 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

van Hooff 2023

van Hooff MC, de Veer RC, Werner E, Beuers U, Drenth JPH, Cuperus FJC, van Hoek B, Veldt BJ, Klemt-Kropp M, van Meer S, Verdonk RC, Flink HJ, Vrolijk JM, Gevers TJG, Ponsioen CY, van Rooij JE, Kerbert-Dreteler MJ, Nicolaas JS, Marleen de Vree J, de Vries ES, Friederich PW, Tielemans MM, Aktas H, Hotho DM, de Wit U, Kuyvenhoven JPH, Abraham S, Kuiper EMM, Schmittgens S, Alderlieste YA, de Boer YS, Janssen HLA, Hansen BE, Erler NS, van der Meer AJ; Dutch PBC Cohort Study Group; Dutch PBC Cohort Study Group. Effectiveness and tolerability of bezafibrate in primary biliary cholangitis - a nationwide real-world study. *Am J Gastroenterol*. 2025 Dec 9. doi: 10.14309/ajg.0000000000003879. Epub ahead of print. PMID: 41363724.