



IGNORANTIA NOCET

Imaavy[®] (nipokalimab) w leczeniu chorych z uogólnioną miastenią

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia
Wersja 1.2

Wykonawca:
MAHTA sp. z o. o.
ul. Modra 90/111
02-661 Warszawa
Tel. biuro: +48 533 399 146
E-mail: biuro@mahta.pl

Przygotowano dla:
Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o.

Warszawa, 03.06.2026 r.

Osoby do kontaktu:

Cezary Prusko

tel.: +48 602 10 44 55
cezary.prusko@mahta.pl

Michał Jachimowicz

tel.: +48 608 555 595
michal.jachimowicz@mahta.pl

MAHTA Sp. z o.o.

Warszawa 02-661
ul. Modra 90/111

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

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

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

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

Analiza została zaktualizowana 03.06.2026 r. w związku z uwagami zawartymi w piśmie DOWM.4131.6.2026.2.KGr z dnia 28 kwietnia 2026 r. Pierwotnie analiza została zakończona 17 grudnia 2025 r.

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	✦ Koncepcja analizy; ✦ Kontrola jakości;
[Redacted]	✦ Koncepcja analizy; ✦ Kontrola jakości; ✦ Aspekty etyczne i społeczne ✦ Ocena kosztów; ✦ Wnioski końcowe
[Redacted]	✦ Zdefiniowanie populacji; ✦ Oszacowanie wielkości populacji docelowej; ✦ Opracowanie możliwych scenariuszy;

Zgodnie z procedurami firmy MAHTA Sp. z o.o. raport został poddany wewnętrznej kontroli jakości, korekcie językowej oraz kontroli merytorycznej przez Cezarego Prusko i Michała Jachimowicza.

Konflikt interesów:

Raport wykonano na zlecenie firmy Janssen-Cilag Polska Sp. z o.o., która finansowała pracę.

Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia	11
2. Analiza wpływu na budżet	12
2.1. Metodyka analizy	12
2.2. Horyzont czasowy	13
2.3. Perspektywa	13
2.4. Scenariusze porównywane	14
2.5. Populacja	15
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana	15
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku	16
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana	22
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją	22
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją	28
2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach	28
2.6. Analiza kosztów	29

2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz technologii opcjonalnych.....	29
2.6.2. Zestawienie kosztów leków	36
2.6.3. Pozostałe kategorie kosztowe	37
2.6.4. Modelowanie kosztów	37
2.7. Podsumowanie danych wejściowych.....	47
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy.....	54
2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe	54
2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe	54
3. Analiza wrażliwości	57
4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń.....	66
5. Aspekty etyczne i społeczne	67
6. Ograniczenia.....	70
7. Podsumowanie i wnioski końcowe	71
8. Załączniki	74
8.1. Uzasadnienie finansowania technologii wnioskowanej w ramach istniejącej grupy limitowej	74
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań	74
9. Spis tabel	77
10. Spis rysunków	81
11. Bibliografia.....	82

Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AChR	ang. <i>Acetylcholine Receptor</i> - receptor acetylocholiny
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AWA	analiza weryfikacyjna AOTMiT
BIA	Ang. budget impact analysis – analiza wpływu na budżet
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CZN	cena zbytu netto
DDD	ang. <i>defined daily dose</i> – dobową dawkę leku
EFG	efgartigimod alfa
gMG	ang. <i>generalized Myasthenia Gravis</i> – uogólniona miastenia
ICD-10	ang. <i>International Classification of Diseases, 10th Revision</i> – dziesiąta wersja Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych
mc	masa ciała
MuSK	ang. <i>muscle-specific tyrosine kinase</i> – kinaza tyrozynowa specyficzna dla mięśni
MZ	Minister Zdrowia
n/d	nie dotyczy
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Care Excellence</i> – Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych
NIP	nipokalimab
PL	program lekowy
PLN	polski złoty
RAW	rawulizumab
RSS	ang. <i>risk sharing scheme</i> – schemat podziału ryzyka
RTX	rytuksymab
SOC	ang. <i>standard of care</i> – leczenie standardowe

Streszczenie

CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Imaavy® (nipokalimab) w leczeniu uogólnionej miastenii.

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

METODYKA

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zgodnie z przedłożonym wnioskiem stanowią dorośli i młodzież w wieku 12 r.ż. i starszych, chorzy z uogólnioną miastenią (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK) [*ChPL Imaavy*®]. Populację docelową zawężono w analizie, aby spełniała kryteria kwalifikacji Programu lekowego B.157.

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych pochodzących z: badań epidemiologicznych i obserwacyjnych, stanowiska ekspertów klinicznych oraz danych historycznych dotyczących refundacji leków stosowanych obecnie we wnioskowanym wskazaniu

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

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której nipokalimab nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego. W scenariuszu tym, chorzy z populacji docelowej są leczeni w ramach terapii podstawowej (SOC) lub po zakwalifikowaniu do Programu lekowego *Programu lekowego B.157* stosują dodatkowo leczenie add-on komparatorami: efgartigimod alfa lub rawulizumab. W scenariuszu prognozowanym (nowym) analizowano sytuację, w której nipokalimab stosowany w leczeniu uogólnionej miastenii będzie finansowany ze środków publicznych. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej.

Całkowite koszty (wynikające z kosztów różniących leczenia) zostały ujęte w ramach następujących kategorii kosztowych:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty podania leków;
- ⊕ koszty monitorowania leczenia w ramach programu lekowego;
- ⊕ koszty zależne od stanu zdrowia;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty opieki paliatywnej.

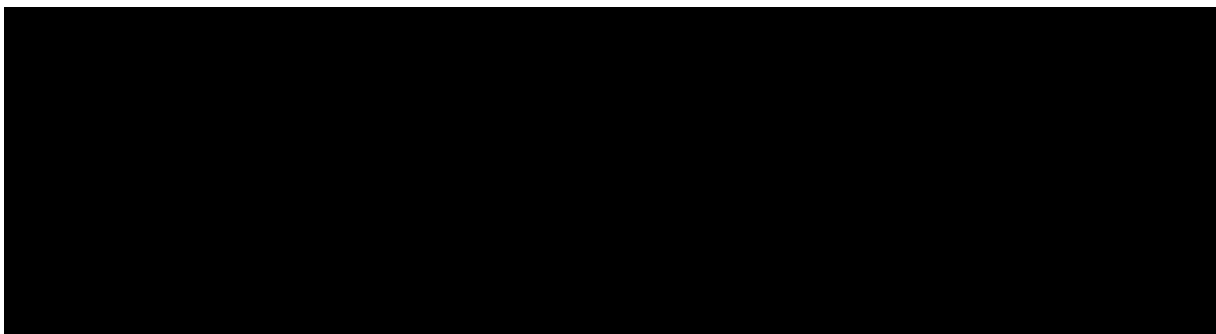
Kategorie te są tożsame z kategoriami kosztowymi analizowanymi w Analizie ekonomicznej, która stanowi integralną część raportu oceny technologii medycznej.

W obliczeniach analizy uwzględniono też założenia proponowanej przez Wnioskodawcę umowy podziału ryzyka (RSS). Wydatki płatnika publicznego (i łączne wydatki płatnika publicznego i pacjentów) przedstawiono w wariantach uwzględniającym i nieuwzględniającym proponowaną umowę podziału ryzyka.

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

WYNIKI

Oszacowanie populacji



Wydatki inkrementalne w perspektywie płatnika publicznego

Po podjęciu pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych nipokalimabu nastąpi

Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS – perspektywa płatnika publicznego

Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS – perspektywa płatnika publicznego

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku analizy	Wartość inkrementalna w 2. roku analizy
Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)		
Minimalny	5 574 119,18	18 487 469,87
Prawdopodobny	7 388 978,81	24 510 294,66
Maksymalny	9 075 568,52	30 110 796,06
Wydatki inkrementalne związane z ceną leku Imaavy® (PLN)		

Wyniki analizy z uwzględnieniem RSS – perspektywa wspólna

Wyniki analizy bez uwzględnienia RSS – perspektywa wspólna

Wariant populacji	Wartość inkrementalna w 1. roku analizy	Wartość inkrementalna w 2. roku analizy
Wydatki inkrementalne ogółem (PLN)		
Minimalny	5 574 121,25	18 487 746,14
Prawdopodobny	7 388 981,56	24 510 662,38
Maksymalny	9 075 571,92	30 111 250,20
Wydatki inkrementalne związane z ceną leku Imaavy® (PLN)		

PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu nipokalimabu (Imaavy®) do *Programu lekowego B.157*.

Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla leku Imaavy® będzie udostępnienie chorym nowej opcji terapeutycznej i zwiększenie ich szans na skuteczne leczenie uogólnionej miastonii. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli zastosować leczenie jedynie przy pomocy terapii

podstawowej (SOC), efgartigimodu alfa, rawulizumabu teraz będą mogli również zastosować terapię nipokalimabem. [REDACTED]

[REDACTED] W konsekwencji finansowanie leku Imaavy® zapewni chorym z uogólnioną miastenią dostęp do skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia. [REDACTED]

Przy uwzględnieniu perspektywy wspólnej płatnika publicznego i pacjentów, wnioski z analizy nie ulegają zmianie.

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

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

Konkludując należy oczekiwać, że finansowanie leku Imaavy® przyczyni się do poprawy sytuacji chorych z uogólnioną miastenią w Polsce.

1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Imaavy® (nipokalimab) w uogólnionej miastenii.

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Imaavy® w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.

2. Analiza wpływu na budżet

2.1. Metodyka analizy

1. Analizę wykonano w oparciu o *Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań, Wytyczne AOTMiT* oraz *Ustawę o refundacji*.
2. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych latach horyzontu czasowego. Liczebność populacji docelowej uwzględnionej w analizie podstawowej oszacowano na podstawie badań epidemiologicznych i obserwacyjnych oraz stanowiska ekspertów klinicznych.
3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
4. Na podstawie wyników przeprowadzonej analizy ekonomicznej oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych (SOC, efgartigimod alfa, rawulizumab).
5. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w latach ujętych w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika oraz łączne wydatki płatnika i pacjentów w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
7. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę pomiędzy wydatkami w scenariuszu nowym, a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera oznacza to dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.

8. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
9. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla oszacowania populacji docelowej oraz kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.

2.2. Horyzont czasowy

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

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że wnioskowana technologia byłaby finansowana w ramach *Programu Lekowego B.157*, który w sposób precyzyjny określa standard terapeutyczny oraz ogranicza stosowanie technologii medycznej do wybranych ośrodków kontraktujących program lekowy. W tej sytuacji stabilizacja rynku powinna nastąpić w okresie 2 lat od wydania pozytywnej decyzji refundacyjnej.

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

2.3. Perspektywa

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

- ⊗ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny¹)

¹ Zgodnie z art. 14 *Ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej*.

- ⊕ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

2.4. Scenariusze porównywane

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

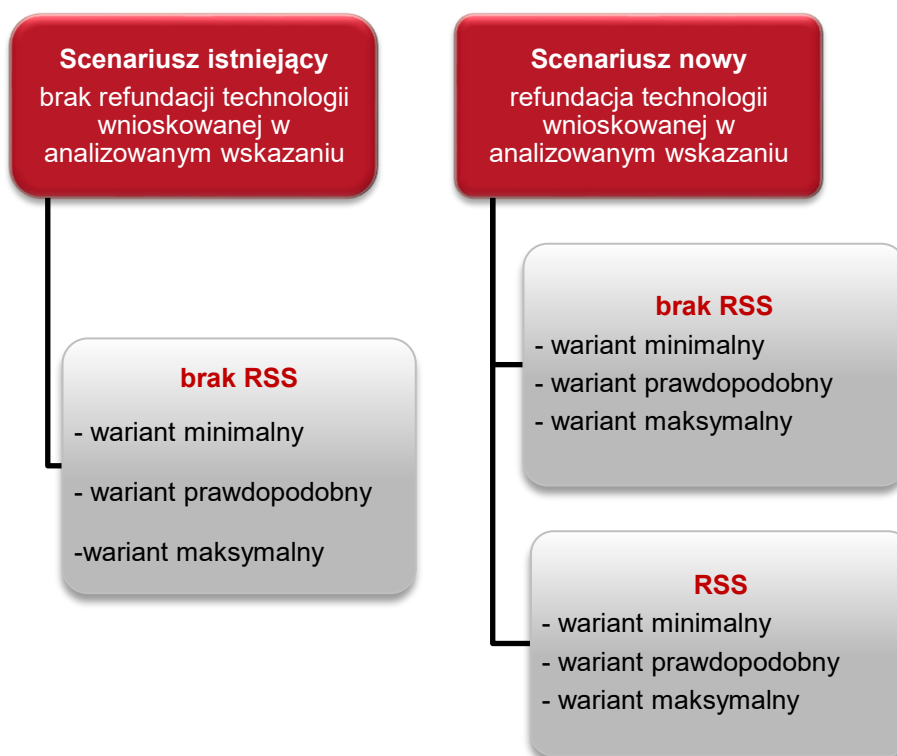
W scenariuszu nowym przyjęto sytuację, w której technologia wnioskowana jest refundowana w leczeniu uogólnionej miastenii. W scenariuszu tym lek będzie dostępny w programie lekowym i wydawany świadczeniobiorcy bezpłatnie. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w załączniku (rozdział 8.1.).

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

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

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

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



2.5. Populacja

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

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana. Zdefiniowano ją w oparciu o Charakterystykę Produktu Leczniczego (ChPL) wnioskowanej technologii. Zgodnie z *ChPL Imaavy®*, nipokalimab wskazany jest w leczeniu:

- ⊕ chorych na uogólnioną miastenię (gMG) dorosłych i młodzieży w wieku 12 r.ż. i starszych, u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholiny (AChR) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK)

Prawdopodobna liczba chorych we wskazaniu zgodnym z ChPL to ok. 5 931. Szczegóły opisano w rozdziale 2.5.2.

2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Wskazanie wnioskowane obejmuje węższą populację niż zarejestrowane, określone w *ChPL Imaavy®*. Zawężenie populacji miało na celu wpisanie się w niezaspokojone potrzeby wyselekcjonowanych grup chorych oraz spełnienie kryteriów kwalifikacji do *Programu lekowego B.157 Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)*.

Populację wszystkich chorych, którzy są objęci wskazaniem oszacowano na podstawie danych NFZ przedstawionych w *AWA Zilbrysq*.

Dane te dotyczyły liczby dorosłych pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: G70.0 (miastenia) w latach 2021-2025. Pod uwagę wzięto zarówno dane dotyczące osób obecnie chorych (chorzy zastani) oraz dane dotyczące nowych chorych w okresie rocznym.

Wyboru tego źródła danych dokonano ze względu na jego wysoką wiarygodność, aktualność oraz bezpośredni związek z rzeczywistą sytuacją epidemiologiczną w Polsce. Dane pochodzą z zasobów NFZ, a więc w sposób rzetelny odzwierciedlają faktyczną skalę oraz dynamikę zjawisk epidemiologicznych występujących na terenie kraju. Dane opublikowane w *AWA Zilbrysq* przedstawiono poniżej.

Tabela 1.
Liczba dorosłych chorych z rozpoznaniem miastenia w latach 2021-2025 na podstawie AWA Zilbrysq

Rok	Liczba chorych zastanych, u których rozpoznano miastenię (ICD-10: G70.0) jako kod główny lub współistniejący	Liczba nowych chorych, u których rozpoznano miastenię (ICD-10: G70.0) jako kod główny lub współistniejący
2021	3 423	1 206
2022	4 068	1 521
2023	4 621	1 553
2024	5 164	1 643
2025	5 792	1 817



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Obeenie nipokalimab nie jest w Polsce stosowany.

2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją

Populację, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją, oszacowano na podstawie prognozowanych udziałów, jakie lek Imaavy® osiągnie w populacji docelowej oraz oszacowań wielkości populacji docelowej (rozdział 2.5.2.).

2.5.4.1. Udziały w rynku

Szacowanie udziałów poszczególnych terapii w rynku oparto o liczebność populacji w poszczególnych wariantach terapii zgodnie ze schematem możliwych ścieżek kwalifikacji

chorych do terapii w ramach Programu lekowego B.157 (Rysunek 2) oraz o udziały obliczone na podstawie danych ze Sprawozdań NFZ (Tabela 9).

Tabela 9.
Udziały w rynku według Sprawozdań NFZ za 2025 rok

Terapia	Liczba chorych leczonych daną substancją w 2025 roku	Udziały w rynku
Rytuksymab	86	54,43%
Rawulizumab	28	17,72%
Efgartigimod	44	27,85%

Obliczenia własne na podstawie *Sprawozdań NFZ* za 2025 rok. Udziały różnią się nieznacznie od zaprezentowanych w *AWA Zilbrysq* (RTX: 87 chorych, EFG: 44 chorych, RAW: 29 chorych).

Obecnie chorzy AChR+ mogą przyjmować SOC lub wszystkie dostępne leki biologiczne tj.: rytuksymab, rawulizumab i efgartigimod. Chorzy MuSK+ natomiast mogą przyjmować jedynie SOC lub rytuksymab.

Przedstawione w tabeli powyżej udziały w rynku odnoszą się jedynie do populacji, która jest leczona w ramach Programu lekowego B.157. Dane te nie uwzględniają pacjentów leczonych SOC, tj.: pacjentów pediatrycznych, którzy w scenariuszu istniejącym nie kwalifikują się do programu lekowego oraz pacjentów po niepowodzeniu terapii rytuksymabem.

[Redacted content]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

2.5.4.2. Oszacowanie wielkości populacji chorych leczonych technologią wnioskowaną

Uwzględniając udziały w rynku (rozdział 2.5.4.1.) oraz wielkość populacji docelowej (rozdział 2.5.2.) oszacowano liczbę chorych leczonych technologią wnioskowaną. Opis możliwych ścieżek przejścia chorych zastanych na terapię nipokalimabem opisano powyżej (rozdział 2.5.2.). Podsumowanie możliwych ścieżek kwalifikacji nowych chorych w populacji docelowej przedstawiono na schemacie poniżej (Rysunek 3). Na schemacie opisano udziały rynkowe poszczególnych terapii w scenariuszu istniejącym. Kolorem czerwonym oznaczono pola odpowiadające terapiom, których udziały może przejąć nipokalimab w scenariuszu nowym.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

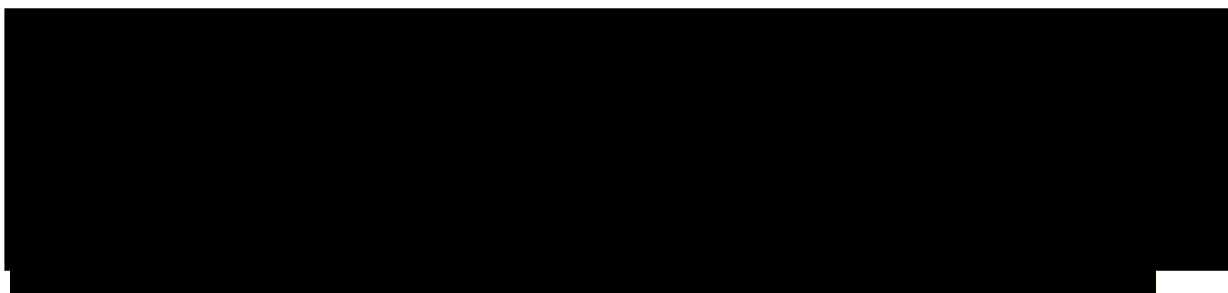
[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



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

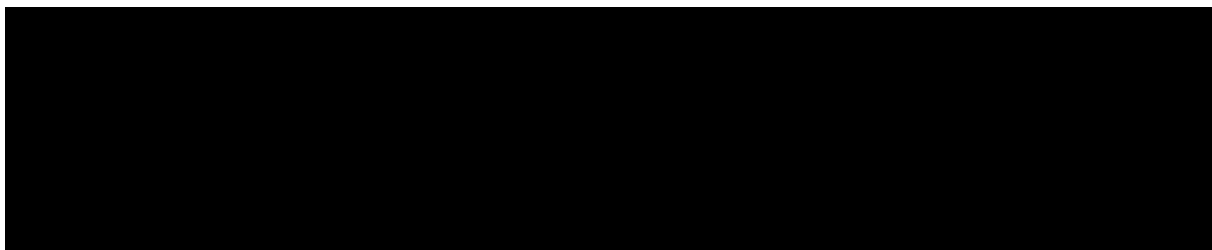
W przypadku braku wydania pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji nipokalimabu, lek ten nie będzie stosowany.

2.5.6. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w minimalnych wymaganiach

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

Tabela 14.

Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań



2.6. Analiza kosztów

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

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

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

- ⊕ koszty leków (podawanych w pierwszej i w kolejnych liniach leczenia);
- ⊕ koszty przepisania i podania leków;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty leczenia paliatywnego;
- ⊕ koszty zależne od stanu zdrowia;
- ⊕ koszty kwalifikacji chorych do programu lekowego;
- ⊕ koszty diagnostyki, monitorowania i oceny skuteczności leczenia.

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

2.6.1. Koszt stosowania wnioskowanej technologii medycznej oraz technologii opcjonalnych

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

2.6.1.1. Dawkowanie i ceny poszczególnych prezentacji

NIPOKALIMAB

Zgodnie z dawkowaniem określonym w *ChPL Imaavy®*, zalecana dawka nipokalimabu w leczeniu gMG u chorych dorosłych i młodzieży w wieku 12 lat i starszych, u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino AChR lub przeciwko MuSK wynosi:

- ⊗ 30 mg/kg mc dla pojedynczej dawki inicjującej;
- ⊗ 15 mg/kg mc ciała dla dawki podtrzymującej, podawanej co 2 tygodnie.

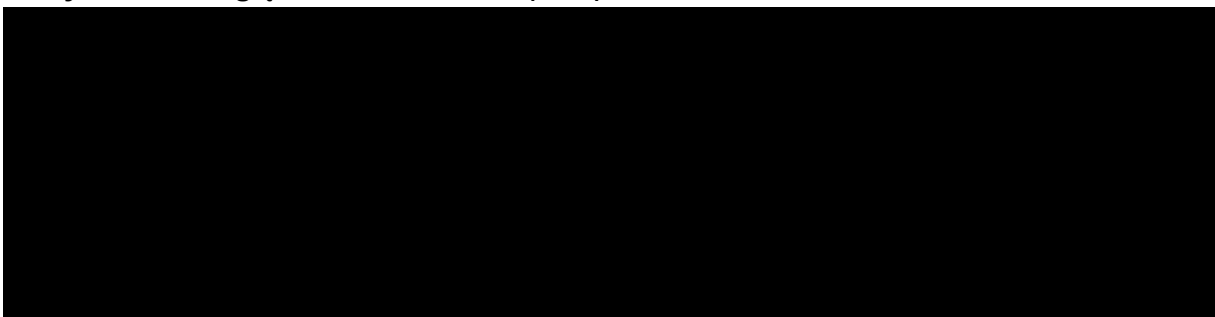
Podanie dawki podtrzymującej następuje 2 tygodnie po podaniu dawki początkowej.

Obecnie lek nie jest finansowany w analizowanym wskazaniu. W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej dostępny będzie w programie lekowym i wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej, zgodnie z uzasadnieniem wskazanym w rozdziale 8.1.

Cenę zbytu netto leku Imaavy® otrzymano od Wnioskodawcy [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę]. Zgodnie z zapisami Ustawy o *refundacji* wyznaczono urzędową cenę zbytu netto (CZN), cenę hurtową brutto oraz wysokość limitu finansowania.

W obliczeniach analizy uwzględniono ponadto założenia umowy podziału ryzyka (RSS) [Dane dostarczone przez Wnioskodawcę]. Wartości poszczególnych cen leku prezentuje poniższa tabela.

Tabela 15.
Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN)



EFGARTIGIMOD ALFA

Zgodnie z *ChPL Vyvgart®* zalecana dawka to 10 mg/kg mc w postaci 1-godzinnego wlewu dożylnego podawanego w cyklach raz w tygodniu przez 4 tygodnie. Częstotliwość cykli leczenia może się różnić w zależności od chorego i powinna być zgodna z oceną kliniczną. W programie badań klinicznych najwcześniejszy czas rozpoczęcia kolejnego cyklu leczenia wynosił 7 tygodni od pierwszego wlewu w poprzednim cyklu. Zgodnie z *Pane 2024* przyjęto, że średnia liczba cykli przyjmowana przez chorych w roku to 6,35. U chorych o masie ciała 120 kg lub większej zalecana dawka wynosi 1 200 mg na wlew.

Efgartigimod alfa jest obecnie finansowany w programie lekowym B.157 i wydawany jest świadczeniobiorcy bezpłatnie. Cena leku za 1 mg, zgodna z *Wykazem leków refundowanych* to 73,99 PLN.

RAWULIZUMAB

Zgodnie z Programem lekowym B.157 rawulizumab jest refundowany tylko dla dorosłych chorych z gMG. Zgodnie z *ChPL Ultomiris®* zalecany schemat dawkowania dla dorosłych obejmuje podanie dawki nasycającej drogą infuzji dożylną, a następnie podawanie tą samą drogą dawek podtrzymujących. Podawane dawki należy określić w oparciu o masę ciała chorego, w sposób przedstawiony w Tabeli 16. Dawki podtrzymujące należy podawać co 8 tygodni, rozpoczynając po 2 tygodniach od podania dawki nasycającej.

Tabela 16. Schemat dawkowania rawulizumabu w oparciu o masę ciała u dorosłych z masą ciała 40 kg lub większą

Zakres masy ciała (kg)	Dawka nasycająca (mg)	Dawka podtrzymująca (mg)
od ≥40 do <60	2400	3000
od ≥60 do <100	2700	3300
≥100	3000	3600

Rawulizumab jest obecnie finansowany w programie lekowym B.157 i wydawany jest świadczeniobiorcy bezpłatnie. Cena leku za 1 mg, zgodna z *Danymi przetargowymi* to 48,53 PLN.

2.6.1.2. TERAPIA PODSTAWOWA

BROMEK PIRYDOSTYGMINY

Zgodnie z *ChPL Mestinon®* zalecana dawka to 30 mg do 180 mg kilka razy na dobę w postaci tabletki podawanej doustnie. Całkowita dawka dobową wynosi zwykle od 120 mg (2 tabletki)

do 1200 mg (20 tabletek), choć może być konieczne stosowanie większych dawek, zgodnie ze schematem ustalania dawki.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Gold 2008* oraz *Alhaidar 2022* przyjęto, że tygodniowo chory zużywa 2 520,00 mg bromku pirydostygminy.

Mestinon®, tabl. drażowane, 60 mg jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

PREDNIZOLON

Zgodnie z *ChPL Predasol®* zalecana dawka to 80 mg do 100 mg 2-4 razy na dobę w postaci tabletki podawanej doustnie. Całkowita dawka dobową wynosi zwykle od 1 mg do 3 mg na kg masy ciała.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Gold 2008*, *Gotterer 2016* i *Alhaidar 2022*, dzienna dawka prednizolonu wynosi od 1 mg na kg masy ciała. Uwzględniając średnią masę ciała chorego w badaniu *VIVACITY*, obliczono, że tygodniowo chory zużywa 552,30 mg prednizolonu.

Predasol®, tabl., 20 mg jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

AZATIOPRYNA

Azatiopryna jest stosowana w leczeniu miastenii uogólnionej off-label [*Azatiopryna_cyklofosfamid 2016*].

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 140.0, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki immunosupresyjne - azatiopryna*, czyli Imuran®, tabl. powł., 50 mg, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Gold 2008*, *Gotterer 2016* i *Alhaidar 2022* dzienna dawka azatiopryny wynosi od 2 do 3 mg na kg masy ciała. Przyjmując średnią dawkę (2,5 mg/kg m.c.) i uwzględniając średnią masę ciała chorego w badaniu *VIVACITY*, obliczono, że tygodniowo chory zużywa 1 380,75 mg azatiopryny.

METOTREKSAT

Metotreksat jest stosowany w leczeniu miastении uogólnionej w postaci podawanej podskórnie off-label [*Metotreksat 2016*].

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 120.2, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - inne immunosupresanty - metotreksat do stosowania podskórnego*, czyli Ebetrexat®, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, 20 mg/ml, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w raporcie *Metotreksat 2016* przyjęto, że tygodniowo chory zużywa 20,00 mg metotreksatu.

TAKROLIMUS

Takrolimus jest stosowany w leczeniu miastении uogólnionej off-label [*Tacrolimus 2022*].

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 139.0, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki immunosupresyjne - inhibitory kalcyneuryny - takrolimus*, czyli lek Envarsus®, tabl. o przedł. uwalnianiu, 0.75 mg, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Itani 2021* i *Alhaidar 2022* przyjęto, że tygodniowo chory zużywa 21,00 mg takrolimusu.

CYKLOFOSFAMID

Cyklofosfamid jest stosowany w leczeniu miastении uogólnionej off-label [*Azatiopryna_cyklofosfamid 2016*].

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 117.1, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki alkilujące - cyklofosfamid*, czyli lek Endoxan®, tabl. drażowane, 50 mg, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Gold 2008* i *Alhaidar 2022* dzienna dawka cyklofosfamidu wynosi od 1 do 2 mg na kg masy ciała. Przyjmując średnią dawkę (1,5 mg/kg m.c.) i uwzględniając średnią masę ciała chorego w badaniu *VIVACITY*, obliczono, że tygodniowo chory zużywa 828,45 mg cyklofosfamidu.

CYKLOSPORYNA

Cyklosporyna jest stosowana w leczeniu miastении uogólnionej off-label.

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 137.1, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki immunosupresyjne - inhibitory kalcyneuryny - cyklosporyna do stosowania doustnego - stałe postacie farmaceutyczne*, czyli lek Equoral®, kaps. elastyczne, 50 mg, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli.

Zgodnie z danymi opublikowanymi w *Gotterer 2016* i *Alhaidar 2022* dzienna dawka cyklosporyny wynosi 5 mg na kg masy ciała. Uwzględniając średnią masę ciała chorego w badaniu *VIVACITY*, obliczono, że tygodniowo chory zużywa 2 761,50 mg cyklosporyny.

MYKOFENOLAN MOFETYLU

Mykofenolan mofetylu jest stosowany w leczeniu miastении uogólnionej off-label [*Mykofenolan mofetylu 2024*].

Na potrzeby analizy kosztów, do obliczeń wybrano lek stanowiący podstawę limitu w grupie limitowej 134.0, *Leki przeciwnowotworowe i immunomodulujące - leki immunosupresyjne - kwas mykofenolowy i jego pochodne*, czyli lek Mycofit®, tabl. powł., 500 mg, który jest obecnie finansowany w ramach leków refundowanych dostępnych w aptece i wydawany jest świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Cenę leku zgodną z *Raportem refundacyjnym NFZ* przedstawiono w poniższej tabeli. Zgodnie z opinią eksperta przedstawioną w raporcie *Mykofenolan mofetylu 2024* przyjęto, że tygodniowo chory zużywa 14 000,00 mg mykofenolanu mofetylu.

ZESTAWIENIE TABELARYCZNE LEKÓW STOSOWANYCH W RAMACH TERAPII PODSTAWOWEJ

Dawkowanie leków stosowanych w ramach terapii podstawowej podsumowano w poniższej tabeli. Odsetek chorych stosujących daną terapię uzyskano z wniosku *Vyvgart 2023*.

Tabela 17.
Dawkowanie leków uwzględnione w analizie podstawowej

Substancja	Źródło danych	Liczba mg/tydzień	Droga podania	Odsetek chorych stosujących terapię
Bromek pirydostygminy	Alhaidar 2022, Gold 2008	2 520,00	Doustnie	91,3%
Prednizolon	Alhaidar 2022, Gotterer 2016, Gold 2008	552,30	Doustnie	55,0%
Azatiopryna	Alhaidar 2022, Gotterer 2016, Gold 2008	1 380,75	Doustnie	29,4%
Metotreksat	Metotreksat 2016	20,00	Podskórnice	2,0%
Takrolimus	Itani 2021, Alhaidar 2022	21,00	Doustnie	0,3%
Cyklofosfamid	Alhaidar 2022, Gold 2008	828,45	Doustnie	2,6%
Cyklosporyna	Alhaidar 2022, Gotterer 2016	2 761,50	Doustnie	1,3%
Mykofenolan mofetylu	Mykofenolan mofetylu 2024	14 000,00	Doustnie	10,8%

Koszt leków stosowanych w ramach terapii podstawowej podsumowano w poniższej tabeli.

2.6.2. Zestawienie kosztów leków

W oparciu o dawkowanie oraz ceny leków wyznaczono koszt jednostkowy leków w przeliczeniu na 1 mg na podstawie *Raportu refundacyjnego NFZ* oraz *Wykazu leków refundowanych* dostępnych w aptece, a także średni koszt tygodnia leczenia. Wartości wskazano w poniższej tabeli.

Tabela 18.
Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie podstawowej (PLN)

Substancja	Koszt 1 mg		Koszt 1 tygodnia terapii	
	Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa wspólna	Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa wspólna
Bromek pirydostygminy	0,013	0,013	32,35	33,69
Prednizolon	0,085	0,095	46,80	52,69
Azatiopryna	0,011	0,011	14,68	15,66
Metotreksat	3,001	3,428	60,03	68,56
Takrolimus	5,313	5,455	111,57	114,55
Cyklofosamid	0,036	0,037	29,61	30,67
Cyklosporyna	0,054	0,055	147,92	151,45
Mykofenolan mofetylu	0,003	0,003	42,95	44,75

2.6.2.1. Koszty podania leków

NIPOKALIMAB

Założono, że podanie wnioskowanego leku stosowanego dożylnie wiąże się z koniecznością odbycia *hospitalizacji w trybie jednodniowym związanej z wykonaniem programu* w dniu podania leku [*Zarządzenie programy lekowej*]. Koszt wartości punktowej obliczono na podstawie *Informatora o umowach NFZ*. Szczegóły zamieszczono w poniższej tabeli (Tabela 19).

KOMPARATORY

Koszt podania komparatorów w ramach programu lekowego określono na podstawie wyceny świadczenia *Hospitalizacja związana z wykonaniem programu* [*Zarządzenie programy lekowej*]. Koszt wartości punktowej obliczono na podstawie Informatora o umowach NFZ.

Koszty podania terapii podstawowej określono na podstawie konserwatywnego założenia, że chory może przyjmować leki samodzielnie w domu. Szczegóły zamieszczono w poniższej tabeli (Tabela 19).

Tabela 19.
Koszty podania leków (PLN)

Kod świadczenia	Typ świadczenia	Wartość punktowa	Średnia cena punktu (PLN)	Koszt świadczenia (PLN)
Koszty podania leków w programie lekowym B.157				
03.0000.457.02	hospitalizacja związana z wykonaniem programu	486,72	1,82	885,83
Koszty podania leków w ramach terapii podstawowej				
-	Podanie leku doustnie	0,00	0,00	0,00
-	Podanie leku podskórnie	0,00	0,00	0,00

2.6.3. Pozostałe kategorie kosztowe

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

2.6.4. Modelowanie kosztów

Koszty uwzględnione w niniejszym opracowaniu stanowią wynik przeprowadzonego w *Analizie ekonomicznej* modelowania z uwzględnieniem 2 letniego horyzontu analizy wpływu na budżet (BIA). W analizie uwzględniono fakt, że nie wszyscy chorzy rozpoczynają terapię jednocześnie a kwalifikacja do leczenia poszczególnymi terapiami odbywa się płynnie w czasie całego roku. Przyjęto, że równy odsetek chorych będzie rozpoczynał terapię w 4 tygodniowych interwałach². W ten sposób około 1/13 rocznej populacji docelowej chorych rozpocznie leczenie w styczniu, 1/13 populacji po upływie 4 tygodni itd. Choremu, który rozpocznie terapię w styczniu, pierwszego roku analizy przypisany zostanie koszt odpowiadający 2 latom leczenia w modelu ekonomicznym (niezdyskontowany), przy czym w pierwszym roku analizy BIA

² Przyjęto okresy 4 tygodniowe a nie miesięczne z uwagi na fakt, że model analizy ekonomicznej wykonany został z dokładnością do cykli tygodniowych a nie miesięcznych.

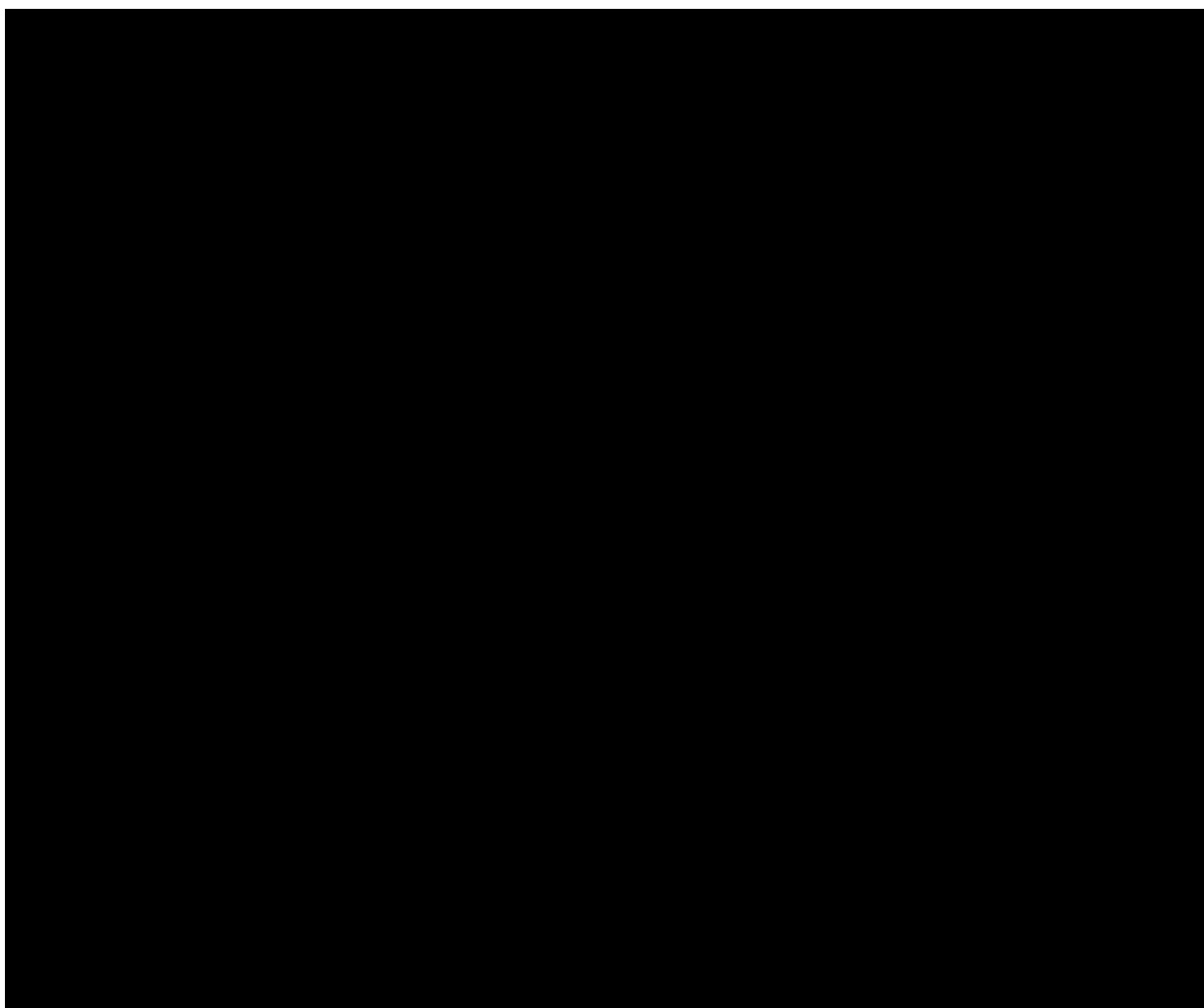
przypisany zostanie koszt pierwszych 52 tygodni terapii, w drugim roku koszt od 53 do 104 tygodnia terapii w modelu. Z kolei choremu, który rozpocznie leczenie np. w 24 tygodniu roku, w pierwszym roku analizy BIA zostanie przyporządkowany koszt pierwszych 28 tygodni terapii w modelu, w drugim roku BIA koszt od 28 do 80 tygodnia modelu itd.

W tabelach poniżej na przykładzie terapii nipokalimabem przedstawiono sposób naliczania kosztów w wariancie prawdopodobnym w scenariuszu nowym w perspektywie NFZ z RSS w populacji AChR+ lub MUSK+, który następnie krótko omówiono.

Pierwsza tabela przedstawia koszt stosowania terapii w poszczególnych miesiącach leczenia, kolejne liczebność populacji rozpoczynającej oraz kontynuującej leczenie NIP oraz koszt leczenia NIP w przeliczeniu na liczbę chorych w poszczególnych miesiącach oraz łączny koszt NIP w I i II roku horyzontu czasowego niniejszej analizy.

Tabela 20.

Koszty ponoszone na nipokalimab w poszczególnych cyklach leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie NFZ



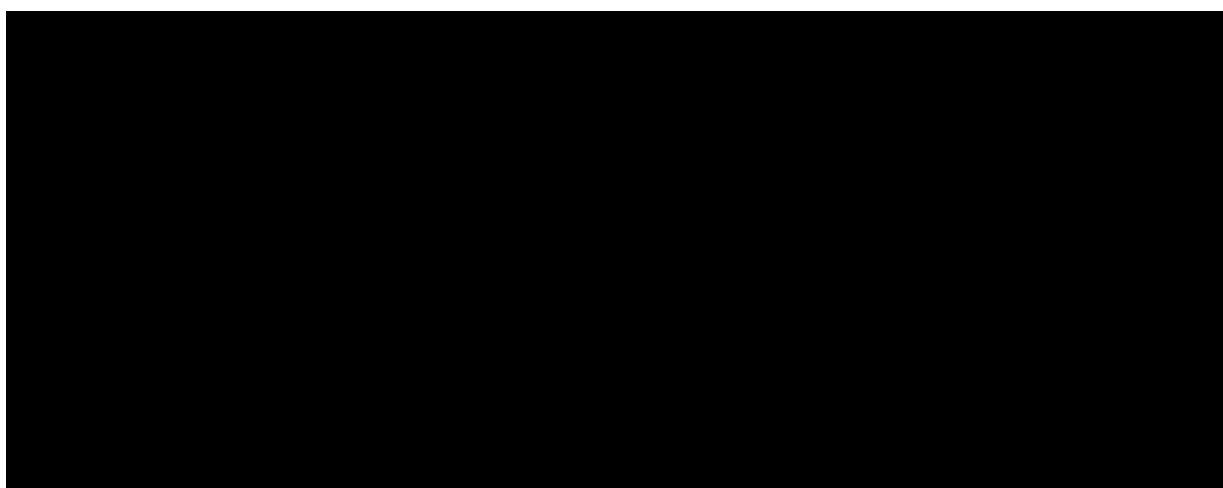


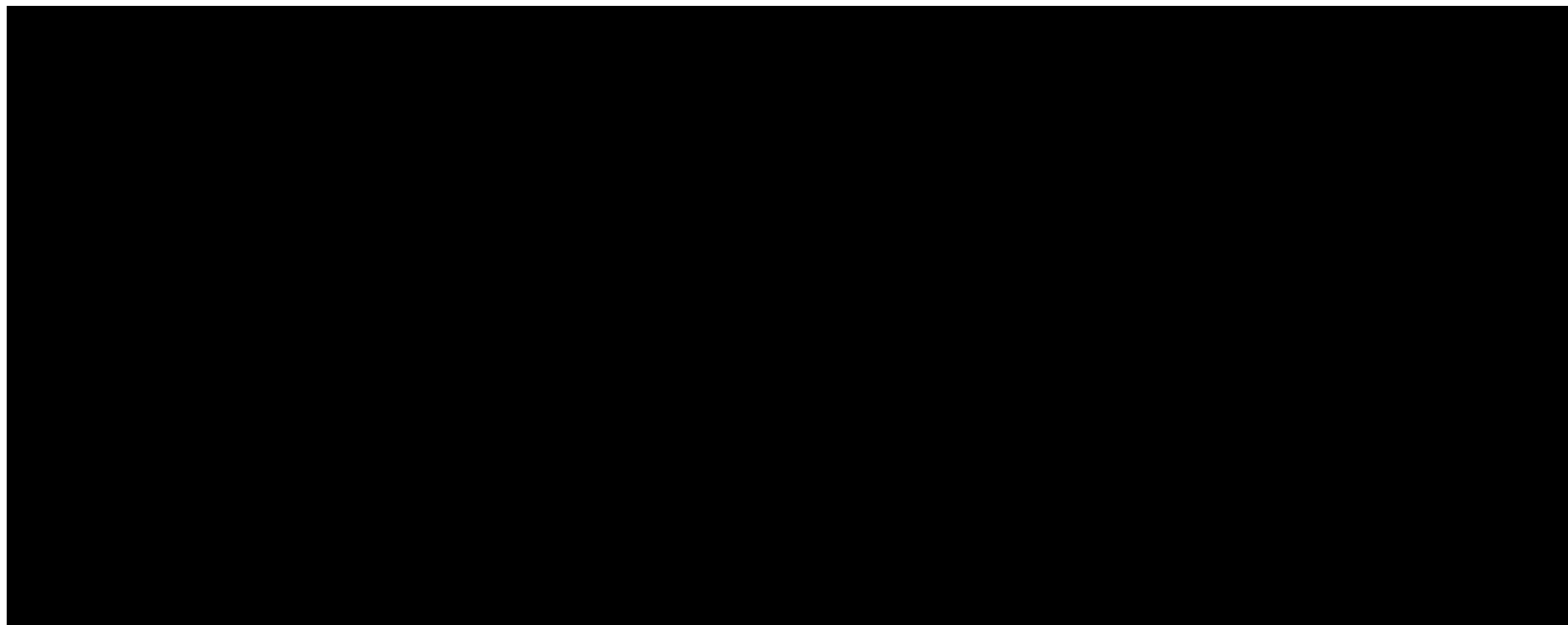
Tabela 21.
Liczebność populacji rozpoczynającej oraz kontynuującej leczenie NIP – scenariusz nowy, wariant prawdopodobny

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

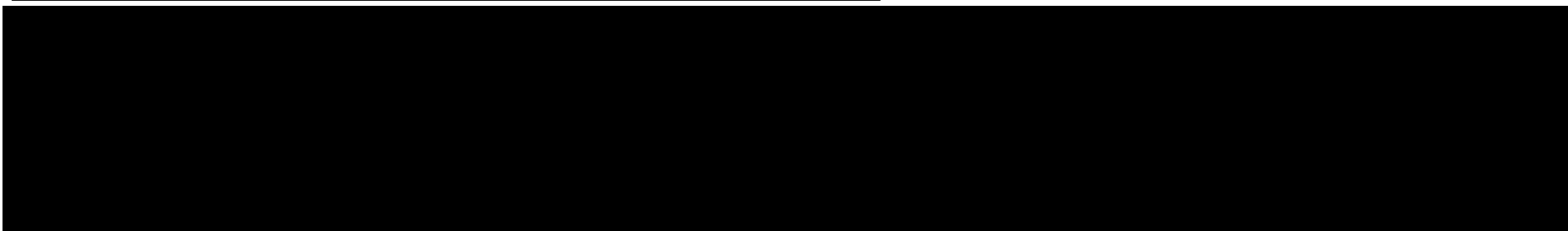


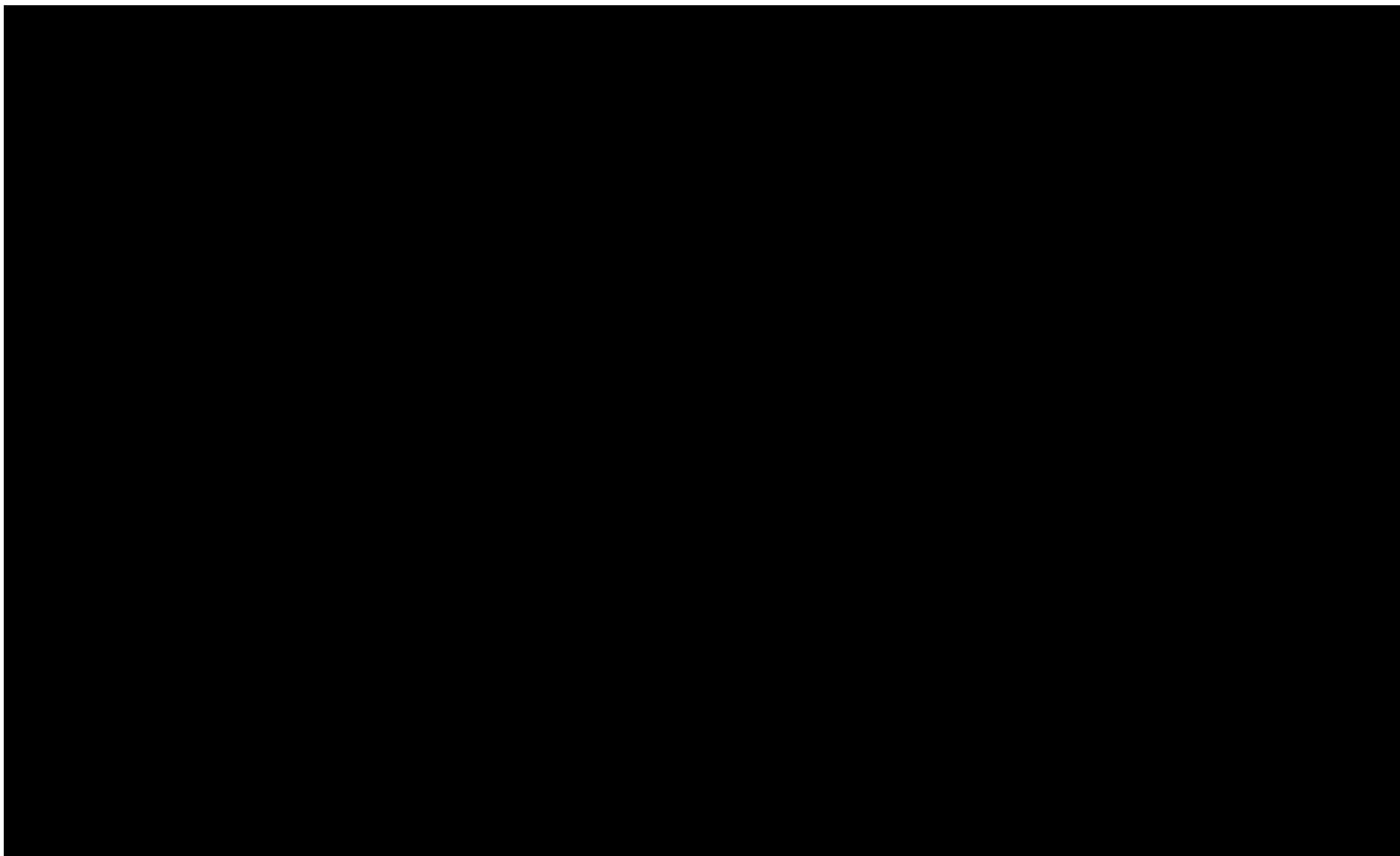


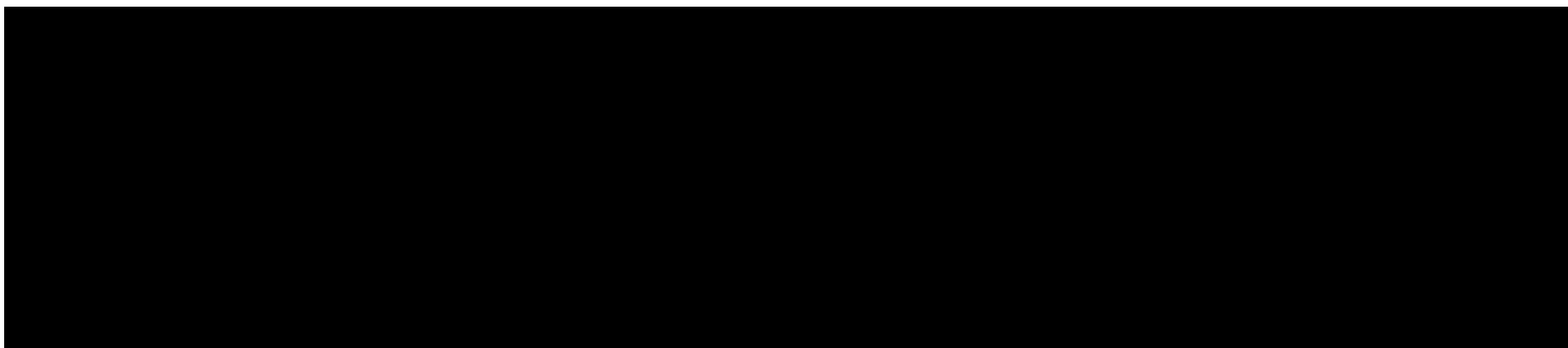
[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]



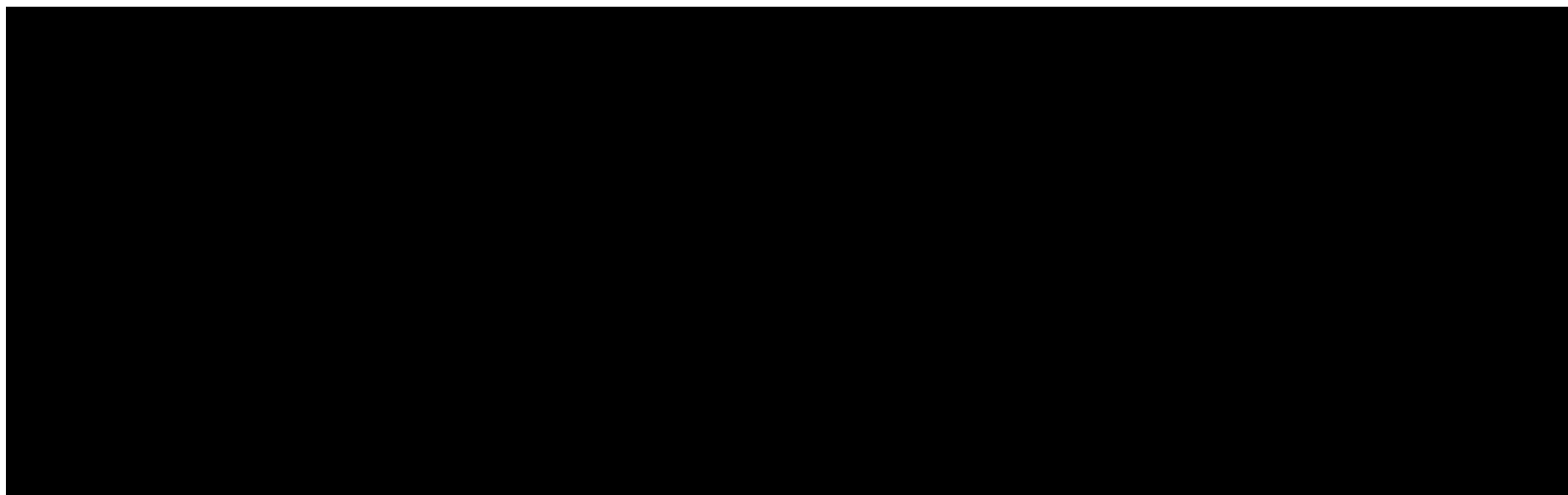


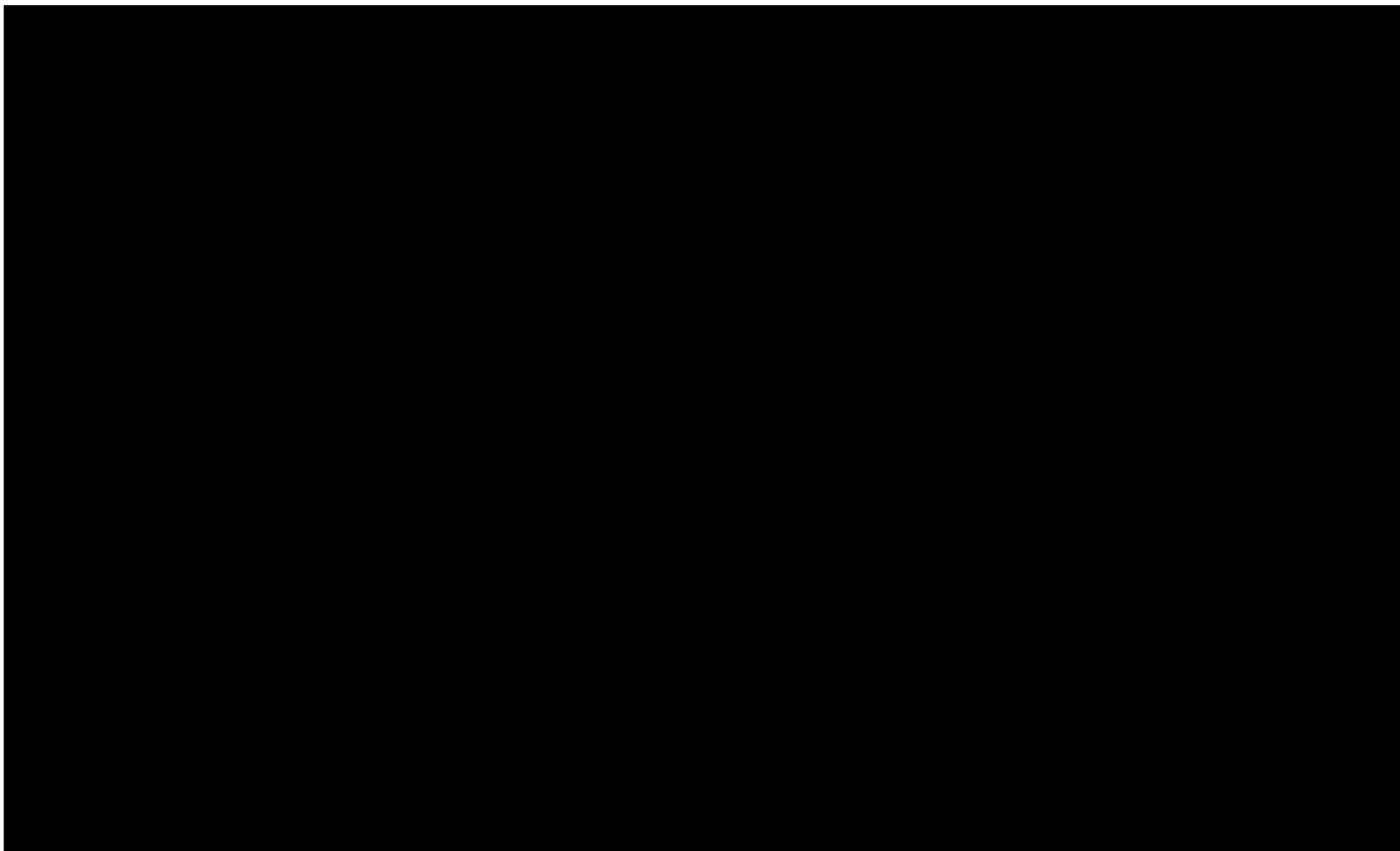


[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]





W poniższych tabelach przedstawiono koszty roczne ponoszone na lek Imaavy® w terapii nipokalimabem u chorych w zależności od roku rozpoczęcia leczenia.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]

Podsumowanie danych wejściowych oraz przyjętych założeń, a także scenariusze analizy podstawowej i analizy wrażliwości zebrano w poniższej tabeli.

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)		Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru
Parametry analizy wpływu na budżet					
Horyzont czasowy analizy	2-letni	n/d	n/d	n/d	Rozdział 2.2
Liczebność populacji docelowej	Rozdział 2.5.2.,	n/d	Rozdział 2.5.2.	Rozdział 2.5.2.	Rozdział 2.5.2.
Udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych	Rozdział 2.5.4.1.	n/d	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.	Rozdział 2.5.4.1.
Parametry kosztowe					
VAT	8%	n/d	n/d	n/d	Ustawa o refundacji
Marża hurtowa	6%	n/d	n/d	n/d	Ustawa o refundacji

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru

Parametr	Wartość parametru z analizy podstawowej	Zakres zmienności wartości parametru (wartość alternatywna – alter)	Uzasadnienie przyjętego zakresu zmienności	Źródła danych dla wartości parametru

2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

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

2.8.1. Aktualne wydatki budżetowe

Aktualne wydatki budżetowe, związane z leczeniem populacji docelowej oszacowano, biorąc pod uwagę liczebność populacji docelowej właściwej dla 2025 roku. Uwzględniono udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych oraz koszty ich stosowania analogicznie, jak dla scenariusza istniejącego. [REDACTED]

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

2.8.2. Prognozowane wydatki budżetowe

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

		Wydatki inkrementalne	
		1. rok analizy	2. rok analizy
Całkowite koszty różniące (PLN)			
minimalny		5 574 119,18	18 487 469,87
prawdopodobny		7 388 978,81	24 510 294,66
maksymalny		9 075 568,52	30 110 796,06

Tabela 35.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS

Tabela 36.
Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS

		Wydatki inkrementalne	
		1. rok analizy	2. rok analizy
Całkowite koszty różniące (PLN)			
minimalny		5 574 121,25	18 487 746,14
prawdopodobny		7 388 981,56	24 510 662,38
maksymalny		9 075 571,92	30 111 250,20

3. Analiza wrażliwości

Analizę wrażliwości przeprowadzono dla parametrów, które w największym stopniu obarczone są niepewnością i mają potencjalnie największy wpływ na wyniki. Dla parametrów tych przeprowadzono analizę wartości skrajnych (ang. *extreme value analysis*), która ocenia wpływ na wyniki analizy przyjęcia przez te parametry wartości ekstremalnych.

W ramach analizy wrażliwości wykonano również analizę scenariuszy, w przypadku której testowano przyjmowanie alternatywnych wartości przez wiele parametrów jednocześnie.

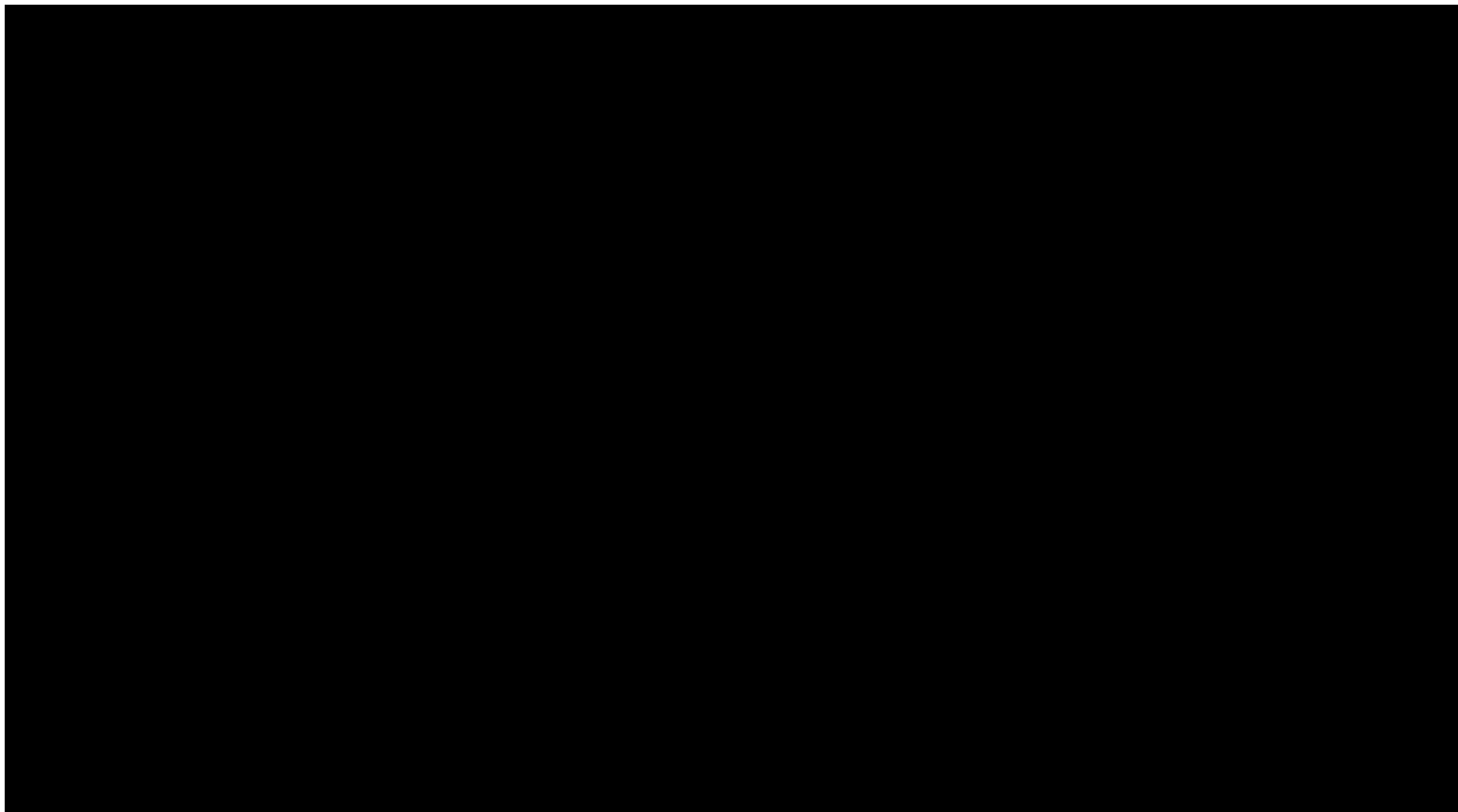
Parametry użyte w analizie wrażliwości oraz warianty testowane w analizie scenariuszy, wraz z zakresem zmienności, źródłem danych oraz uzasadnieniem zakresów zmienności, wskazano w rozdziale 2.7.

Wnioskowanie z analizy nie zmienia się w przypadku uwzględnienia parametrów skrajnych.

Wyniki analizy wrażliwości oraz analizy scenariuszy przedstawiono w poniższych tabelach.

Tabela 37.

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



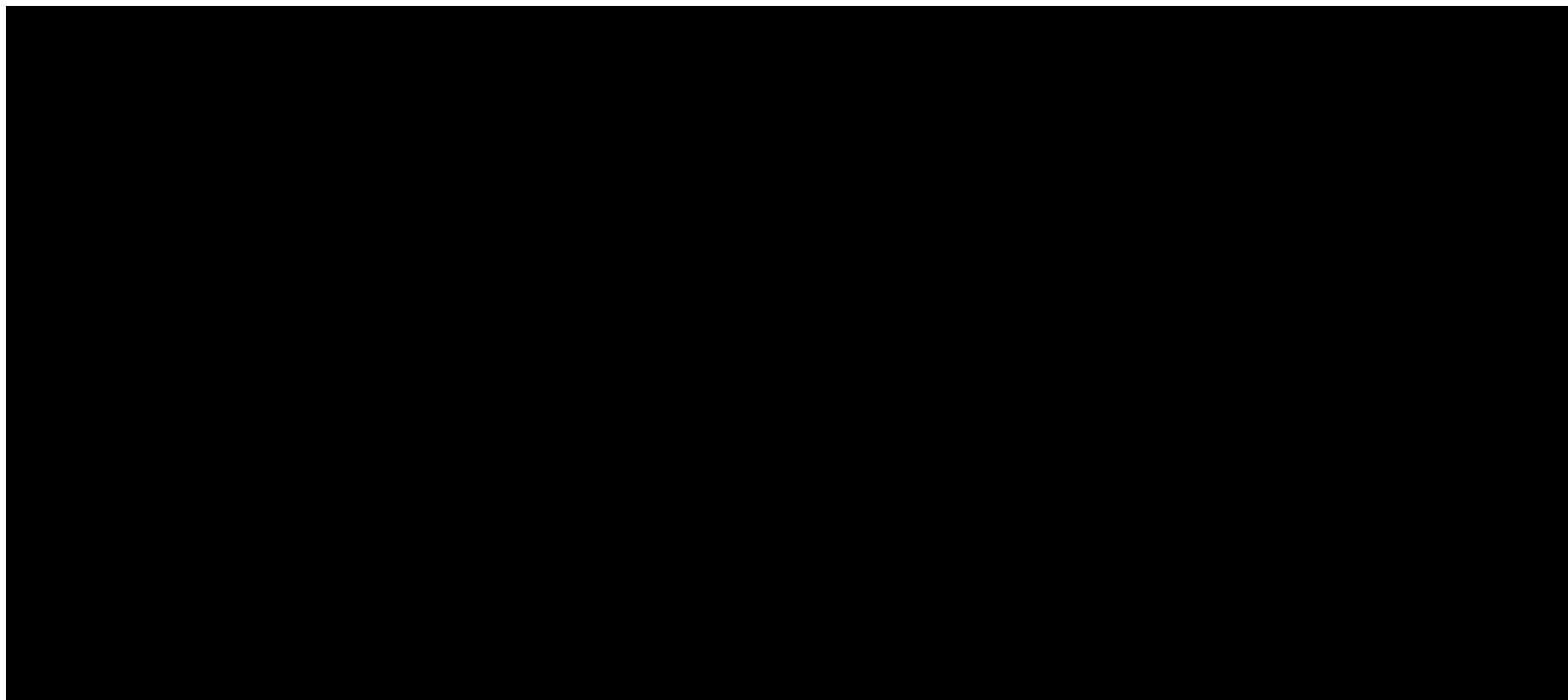
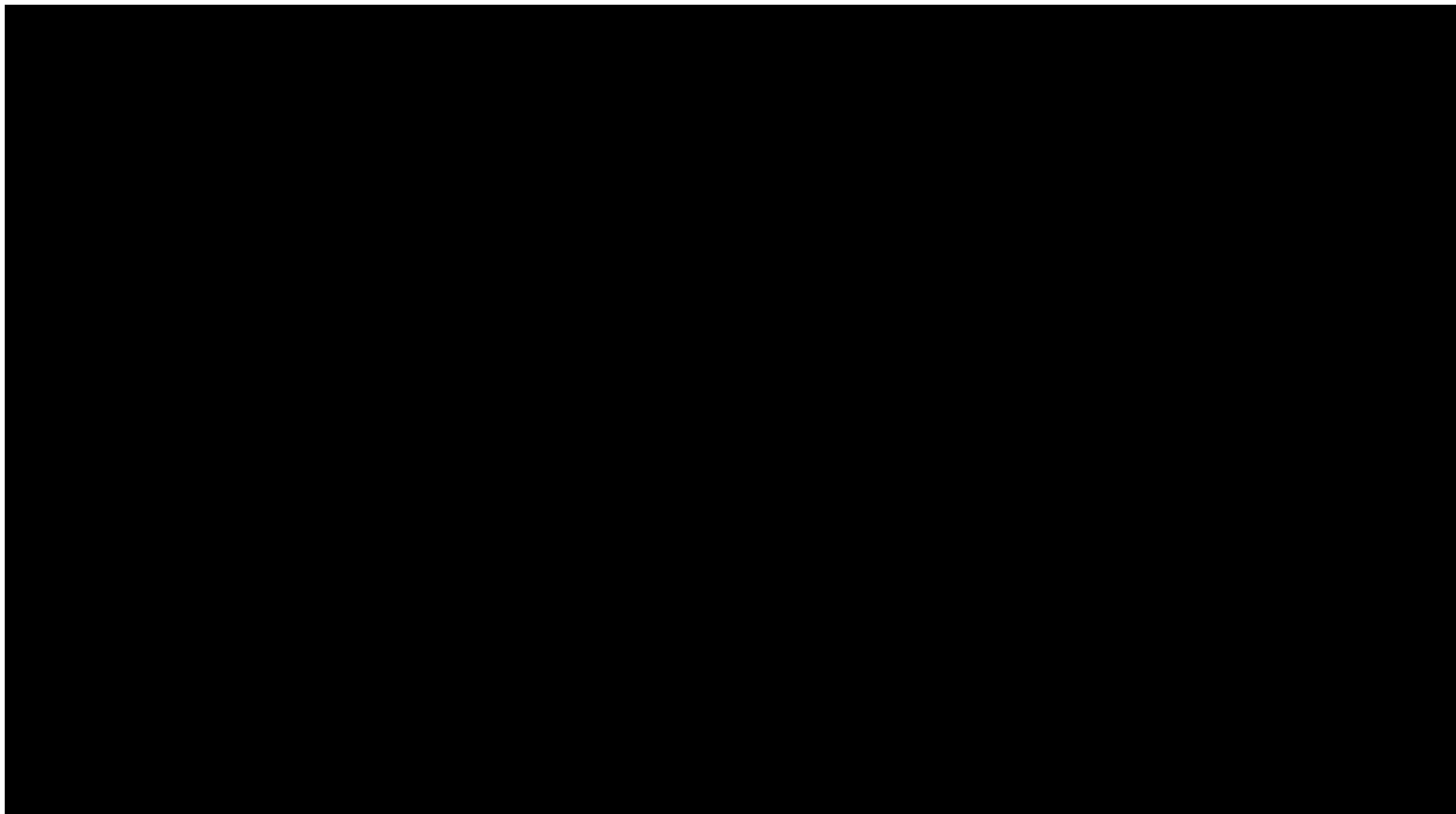


Tabela 38.

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



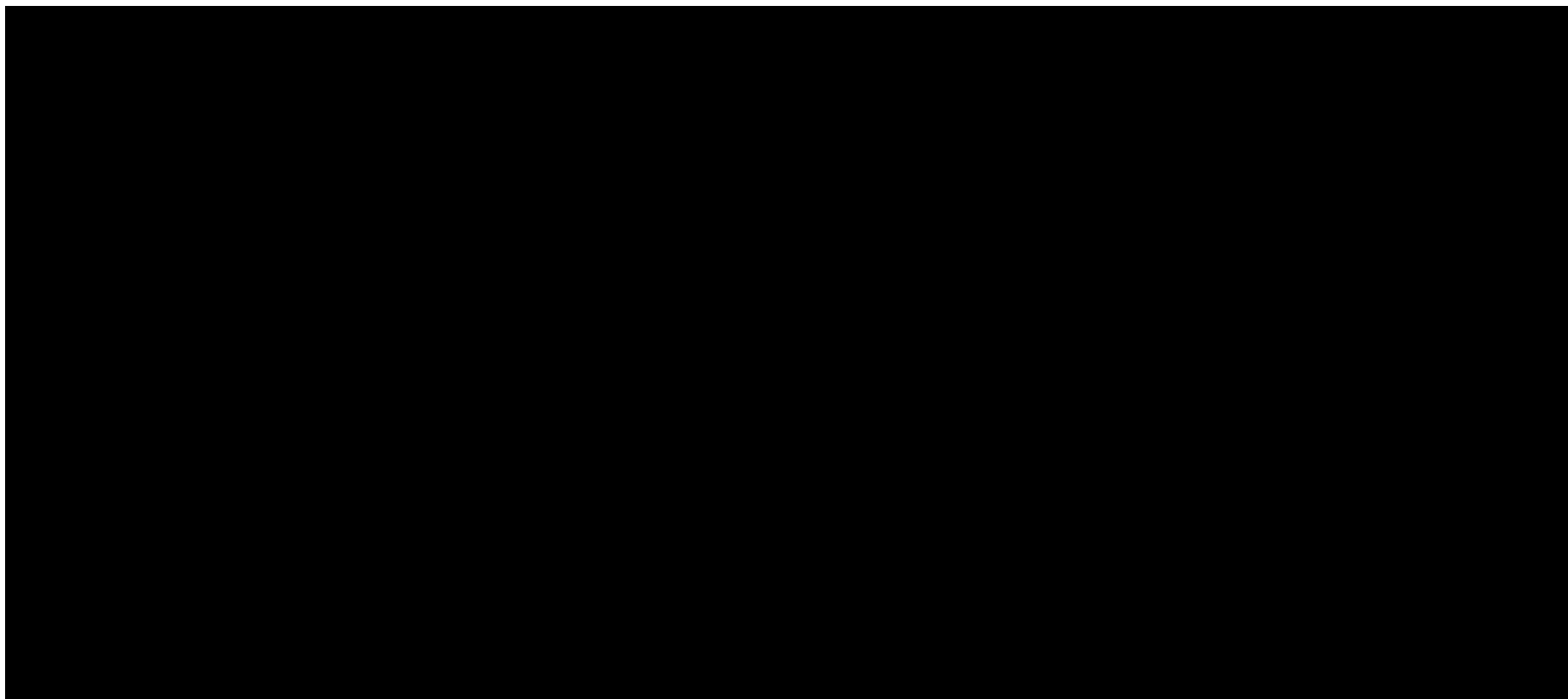
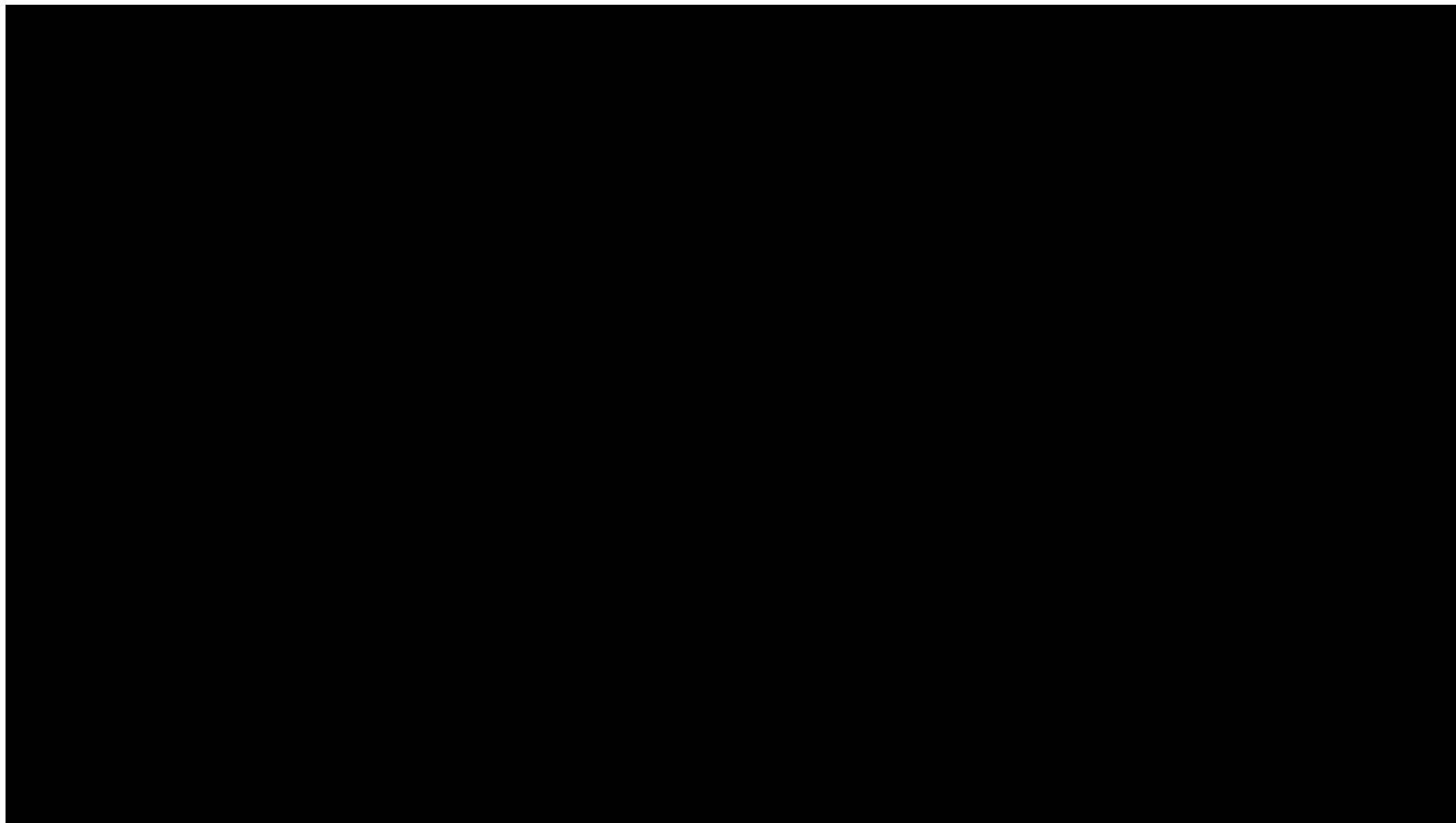


Tabela 39.

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



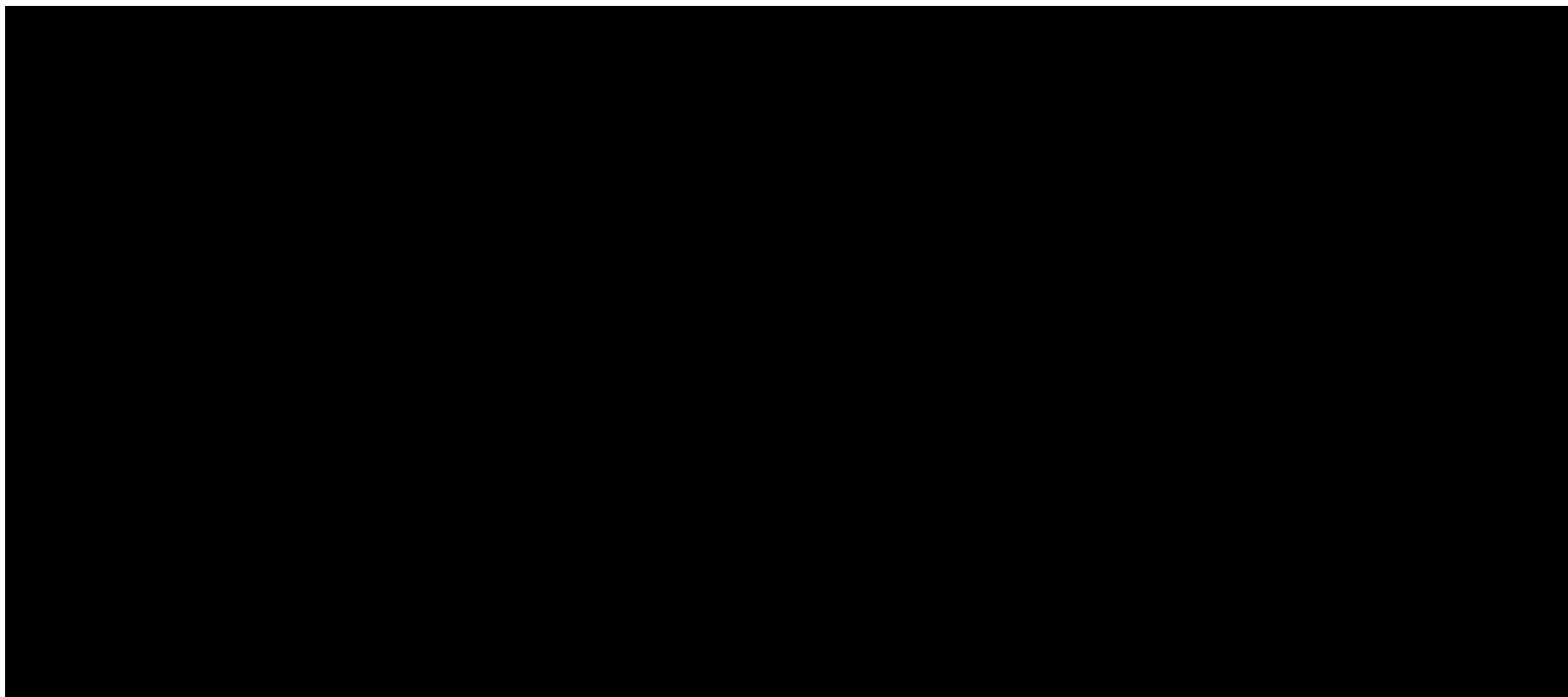
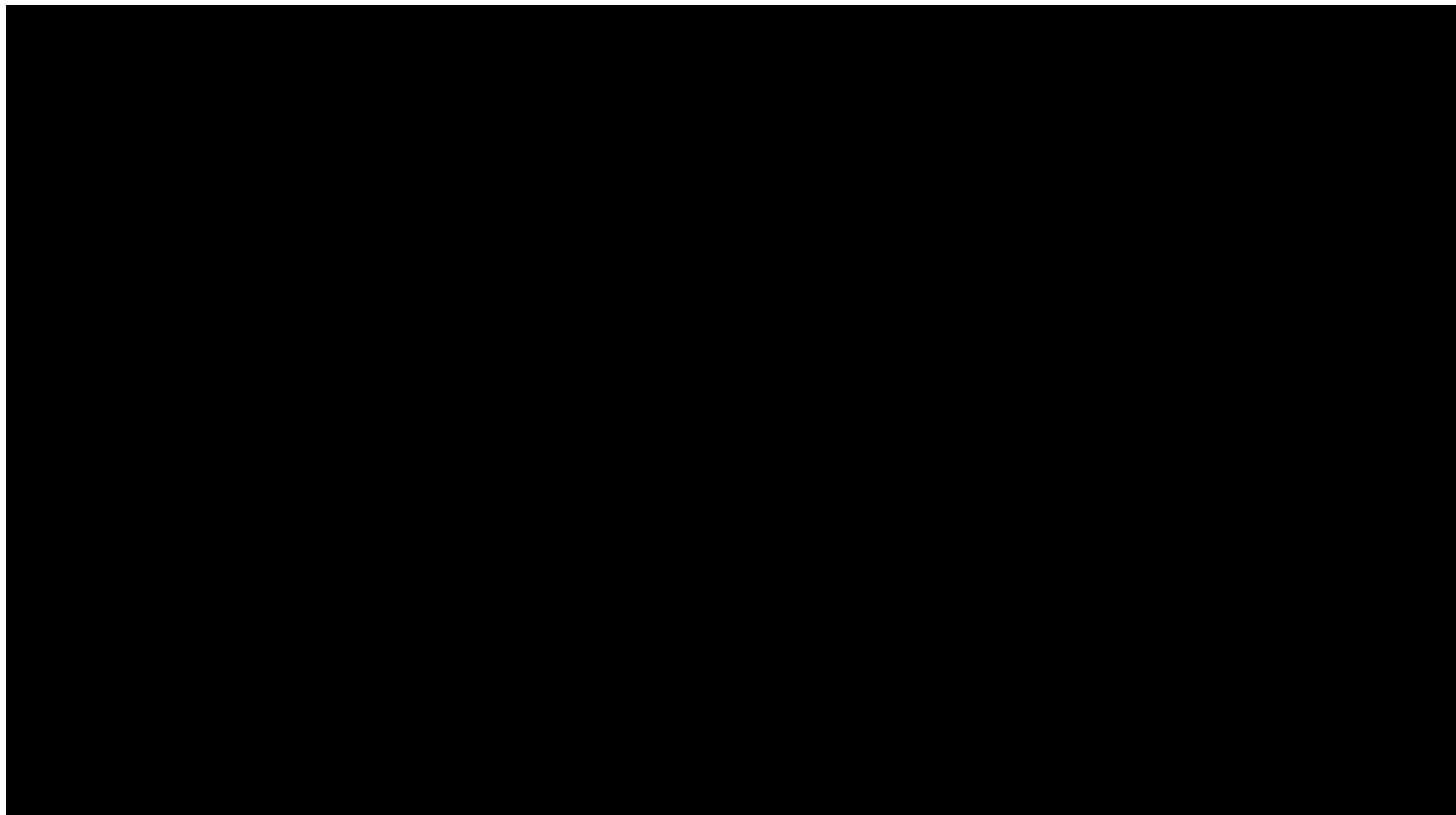
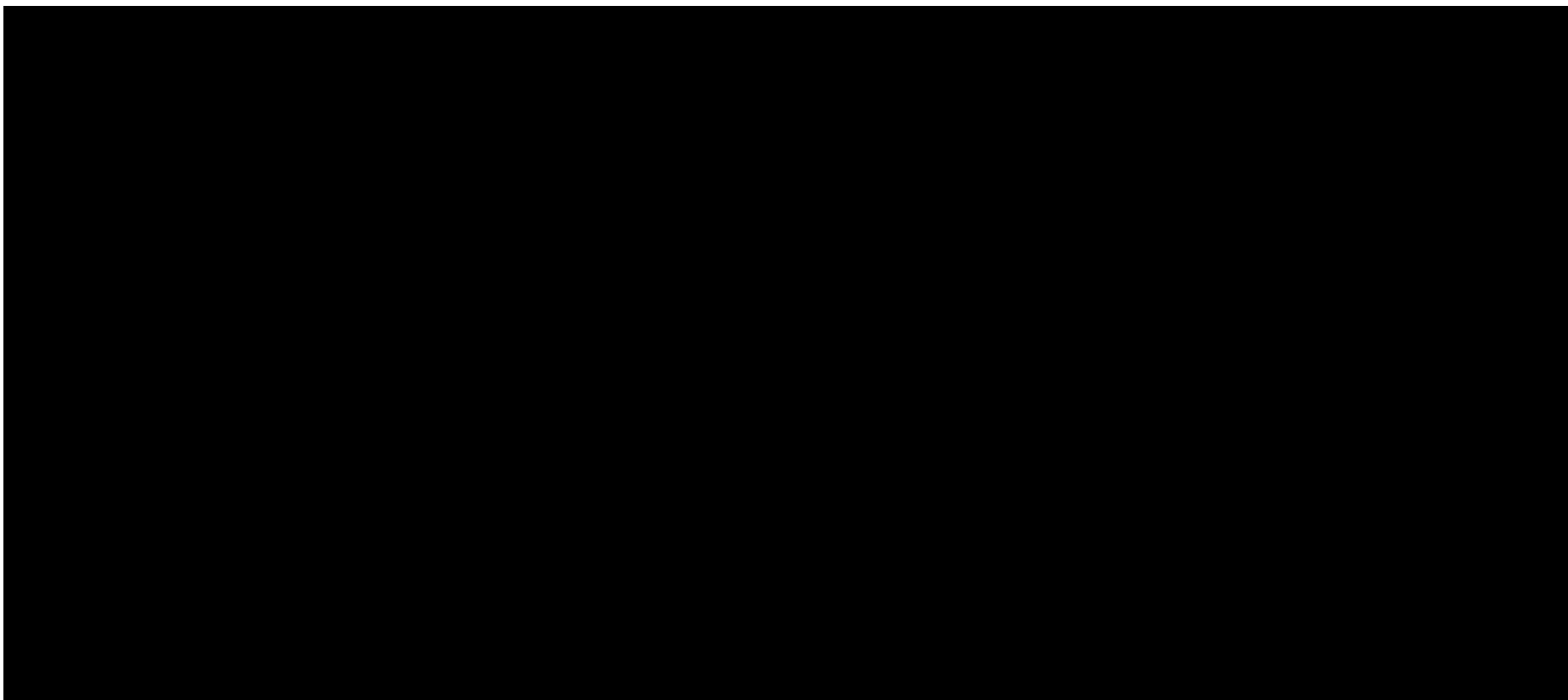


Tabela 40.

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





4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń

Decyzja dotycząca refundacji produktu Imaavy® (nipokalimab) w leczeniu chorych z uogólnioną miastenią, w ramach dostępności w programie lekowym, nie będzie wiązała się z koniecznością zmian w organizacji i realizacji programu lekowego. W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

Należy jednak oczekiwać, że skuteczniejsza kontrola przebiegu choroby oraz zmniejszenie ryzyka wystąpienia przełomu miastenicznego mogą wpłynąć na ograniczenie wykorzystania innych szpitalnych świadczeń specjalistycznych, w szczególności związanych z leczeniem zaostrzeń choroby i ich następstw.

W wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej może mieć nieznaczny wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych poprzez zmniejszenie zapotrzebowania na realizację specjalistycznych świadczeń szpitalnych związanych z leczeniem zaostrzeń choroby lub przełomu miastenicznego.

5. Aspekty etyczne i społeczne

Miastenia to choroba o bardzo zróżnicowanym przebiegu i zmiennych objawach. Do zaostrzenia choroby wystarczy zakażenie, stres albo nadmierny wysiłek [AWA *Ultomiris*®]. Niekontrolowana gMG może prowadzić do zagrażającego życiu przełomu miastenicznego, który wymaga hospitalizacji. Obecnie dostępne leczenie często jest niewystarczające. Za główne obciążenia związane ze stosowaniem dostępnych opcji terapeutycznych wskazano konieczność połykania dużej ilości tabletek (co przy dysfagii stanowi spory problem), długi czas oczekiwania na efekt przyjmowanych terapii (nawet ponad 12 miesięcy) oraz licznie występujące działania niepożądane [Raport TLI 2025]. W grupie chorych z niezaspokojoną potrzebą zdrowotną znajdują się szczególnie chorzy na miastenię uogólnioną, u których standardowe leczenie jest niewystarczające do kontroli objawów choroby. Widoczne jest to zwłaszcza w leczeniu chorych z obecnymi przeciwciałami anti-MuSK+ [Raport TLI 2025]. Co więcej, potrzebna jest terapia pozwalająca istotnie zmniejszyć dawkę lub całkowicie zniwelować konieczność podawania kortykosteroidów, których długotrwałe przyjmowanie prowadzi do licznych działań niepożądanych i może prowadzić do niepełnosprawności.

W związku z powyższym, dotychczas stosowane leczenie przy pomocy obecnych opcji terapeutycznych nie może zostać uznane za satysfakcjonujące. Ponadto, żaden z leków z grupy terapii zaawansowanych nie jest w Polsce aktualnie dostępny i refundowany w populacji pediatrycznej.

Charakter analizowanej jednostki chorobowej prowadzi do niepełnosprawności chorych. W efekcie społeczeństwo obciążone jest istotnymi kosztami utraty produktywności. Koszty te są, tym wyższe im mniej skutecznie prowadzona jest terapia tych chorych. Obecnie chorzy, szczególnie Ci z obecnymi przeciwciałami anti-MuSK+, nie mają zagwarantowanego dostępu do skutecznej metody leczenia przez co koszty społeczne są eskalowane. Refundacja nipokalimabu pomoże ograniczyć te koszty i będzie stanowiła odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę społeczną.

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

Stosowane dotychczas leczenie z wykorzystaniem efgartigimodu alfa, rawulizumabu (refundowanych w ramach programu lekowego) nie zapewni wszystkim chorym odpowiedniego leczenia. Rozszerzenie spektrum terapeutycznego o możliwość leczenia nipokalimabem może przynieść skuteczną oraz mniej inwazyjną opcję leczenia chorym już zdiagnozowanym oraz chorym nowo diagnozowanym. W przypadku chorych, u których występują przeciwciała anti-MuSK po nieskutecznej terapii rytuksymabem lub z innymi przeciwwskazaniami do tej terapii, leczenie Imaavy® może stanowić jedyną opcję leczenia. W populacji chorych poniżej 18 roku życia, leczenie Imaavy® jest jedyną opcją zaawansowanego leczenia dodatkowego do terapii podstawowej (SOC).

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

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

Tabela 41.
Aspekty społeczne i etyczne

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o istotnych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać ponadprzeciętny lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:	
stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie

Warunek	Wartość
Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymagania, takie jak:	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

6. Ograniczenia

Liczebność populacji docelowej oraz udziały w rynku technologii wnioskowanej i komparatorów w poszczególnych scenariuszach analizy określono na podstawie badań epidemiologicznych i obserwacyjnych oraz stanowiska ekspertów klinicznych dostępnych publicznie w raportach refundacyjnych.

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

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

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

7. Podsumowanie i wnioski końcowe

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu Imaavy® (nipokalimab) do *Wykazu leków refundowanych* w ramach kategorii dostępności lek stosowany w Programie lekowym.

Populację docelową dla technologii wnioskowanej zdefiniowano zgodnie z przedłożonym wnioskiem refundacyjnym. Stanowią ją dorośli i młodzież w wieku 12 r.ż. i starszych, chorzy z uogólnioną miastenią (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR) lub przeciwko specyficznej dla mięśni kinazie tyrozynowej (MuSK) [*ChPL Imaavy®*]. Populację docelową zawężono w analizie, aby spełniała kryteria kwalifikacji Programu lekowego B.157.

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

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

Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie badań epidemiologicznych i obserwacyjnych oraz stanowiska ekspertów klinicznych. Konstrukcja analizy wpływu na budżet objęła zestawienie ze sobą dwóch scenariuszy, w którym pierwszy zakłada brak refundacji, a drugi wprowadzenie do refundacji technologii wnioskowanej. Wynikiem analizy wpływu na budżet jest różnica pomiędzy tymi scenariuszami wyrażona inkrementalnymi wydatkami płatnika publicznego oraz pacjenta.

Analizę wykonano dla 2-letniego okresu, który stanowi horyzont czasowy analizy. Elementy analizy wpływu na budżet objęły: estymację populacji docelowej i udziałów rynkowych technologii wnioskowanej oraz analizę kosztową.

W analizie uwzględniono:

- ⊕ koszty leków;
- ⊕ koszty podania leków;
- ⊕ koszty monitorowania leczenia w ramach programu lekowego;

- ⊕ koszty zależne od stanu zdrowia;
- ⊕ koszty leczenia zdarzeń niepożądanych;
- ⊕ koszty opieki paliatywnej

W analizie zgodnie z wnioskiem refundacyjnym uwzględniono, że lek po wydaniu pozytywnej decyzji refundacyjnej wydawany będzie świadczeniobiorcy bezpłatnie. Uwzględniono ponadto finansowanie leku w oddzielnej grupie limitowej. Cenę zbytu netto nipokalimabu otrzymano od Wnioskodawcy.

Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz aspekty etyczne i społeczne zostały określone zgodnie z metodyką zaproponowaną w *Wytycznych AOTMiT*.

Oszacowanie populacji



Bezpośrednią konsekwencją pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii będzie udostępnienie chorym nowej opcji terapeutycznej i zwiększenie ich szans na skuteczne leczenie uogólnionej miastonii. Rozszerzone zostanie spektrum terapeutyczne, w związku z czym lekarze, którzy dotychczas mogli stosować leczenie jedynie przy pomocy terapii: efgartigimodem alfa, rawulizumabem, SOC teraz będą mogli skorzystać również z terapii lekiem Imaavy®. W konsekwencji finansowanie leku *Imaavy*® zapewni chorym z uogólnioną miastenią dostęp do skutecznego leczenia oraz wpłynie na poprawę ich jakości życia.



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

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

8. Załączniki

8.1. Uzasadnienie finansowania technologii wnioskowanej w ramach istniejącej grupy limitowej

Na podstawie art. 15 *Ustawy o refundacji* należy stwierdzić, że leku Imaavy® nie można zakwalifikować do żadnej z obecnie istniejących grup limitowych. Lek ten nie spełnia kryteriów kwalifikacji do wspólnych grup limitowych, o których mowa w art. 15 ust 2 *Ustawy o refundacji* ze względu na brak tej samej nazwy międzynarodowej.

Objęcie refundacją nipokalimabu może nastąpić tylko w drodze utworzenia nowej grupy limitowej. Nie jest możliwe włączenie leku Imaavy® do jednej z już istniejących grup limitowych, gdyż nie ma grupy limitowej dla produktów leczniczych, które spełniałyby warunek z art. 15 ust. 2 pkt 1 *Ustawy o refundacji*.

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

Tabela 42.

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

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

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją lub decyzji o podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub decyzję o podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.2.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.2.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.2.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.2.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.2.
7.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7
8.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7
8.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 8.1.
9.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
10.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
11.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
11.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
12.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach - z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka), - bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka	TAK

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
12.1.	Wskazano dowody niespełnienia wymagań, o których mowa: ⊗ w art. 15 ust. 2 pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej) Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: ⊗ w art. 15 ust. 2. pkt 1 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)	TAK, rozdział 8.1.

9. Spis tabel

Tabela 1. Liczba dorosłych chorych z rozpoznaniem miastenia w latach 2021-2025 na podstawie AWA Zilbrysq.....16

.....17

.....17

.....18

.....18

.....19

.....21

.....22

Tabela 9. Udziały w rynku według Sprawozdań NFZ za 2025 rok23

.....24

.....25

.....25

.....27

Tabela 14. Podsumowanie oszacowań liczebności populacji zdefiniowanych w Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań28

Tabela 15. Ceny leków uwzględnione w analizie (PLN).....30

Tabela 16. Schemat dawkowania rawulizumabu w oparciu o masę ciała u dorosłych z masą ciała 40 kg lub większą	31
Tabela 17. Dawkowanie leków uwzględnione w analizie podstawowej.....	35
Tabela 18. Koszty leków w analizowanym wskazaniu uwzględnione w analizie podstawowej (PLN).....	36
Tabela 19. Koszty podania leków (PLN).....	37
Tabela 20. Koszty ponoszone na nipokalimab w poszczególnych cyklach leczenia (PLN) z uwzględnieniem umowy podziału ryzyka w perspektywie NFZ.....	38
Tabela 21. Liczebność populacji rozpoczynającej oraz kontynuującej leczenie NIP – scenariusz nowy, wariant prawdopodobny.....	39

.....	41
.....	42
.....	44
.....	46
.....	46
.....	46

	47
	47
	47
	47

Tabela 32. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....	48
---	----

Tabela 33. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego z uwzględnieniem RSS.....	55
---	----

Tabela 34. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego bez uwzględnienia RSS.....	55
--	----

Tabela 35. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej z uwzględnieniem RSS.....	56
---	----

Tabela 36. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej bez uwzględnienia RSS.....	56
--	----

Tabela 37. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji z RSS	58
---	----

Tabela 38. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy płatnika publicznego oraz wersji bez RSS.....	60
--	----

Tabela 39. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji z RSS	62
---	----

Tabela 40. Wyniki analizy wrażliwości w zależności od wariantu z perspektywy wspólnej oraz wersji bez RSS	64
---	----

Tabela 41. Aspekty społeczne i etyczne	68
--	----

Tabela 42. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i>	74
--	----

10. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet.....15

.....
.....20

.....
.....27

11. Bibliografia

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Alhaidar 2022	Alhaidar M.K., Abumurad S., Soliven B., Rezania K., <i>Current Treatment of Myasthenia Gravis</i> , „Journal of Clinical Medicine” t. 11 nr 6 (2022), DOI: 10.3390/jcm11061597, https://www.mdpi.com/2077-0383/11/6/1597 .
Analiza ekonomiczna	<i>Imaavy® (nipokalimab) w leczeniu chorych z uogólnioną miastenią. Analiza ekonomiczna, MAHTA 2025</i>
Analiza kliniczna	<i>Imaavy® (nipokalimab) w leczeniu chorych z uogólnioną miastenią. Analiza kliniczna, MAHTA 2025</i>
Analiza problemu decyzyjnego	<i>Imaavy® (nipokalimab) w leczeniu chorych z uogólnioną miastenią. Analiza problemu decyzyjnego, MAHTA 2025</i>
AOTMiT Rytuksymab	Raport AOTMiT nr: OT.422.1.6.2024, <i>Rytuksymab we wskazaniu pozarejestrycyjnym: miastenia w ramach programu lekowego.</i>
AWA Ultomiris®	Analiza weryfikacyjna AOTMiT Wniosku o objęcie refundacją leku Ultomiris (rawulizumab) w ramach programu lekowego: „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G70.0)” z 12 lipca 2024; nr: OT.423.1.31.2024
AWA Zilbrysq®	Analiza weryfikacyjna wniosku o objęcie refundacją leku Zilbrysq (zilucoplan) w ramach programu lekowego B.157 „Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (ICD-10: G70.0)”, nr: DOWM.4131.3.2026
Azatiopryna_cyklofosfamid 2016	„Azathioprinum we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne inne niż określone w ChPL oraz cyclophosphamidum we wskazaniu: choroby autoimmunizacyjne.” Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w ChPL. Raport AOTMiT nr: AOTMiT-OT-434-8/2016. 21 marca 2016 r.
Chayanopparat 2025	Chayanopparat S., Banyatcharoen P., Jitprapaikulsan J., et al., <i>Efficacy and safety of rituximab in anti-MuSK myasthenia Gravis: a systematic review and meta-analysis</i> , „Scientific Reports” t. 15 nr 1 (2025), DOI: 10.1038/s41598-025-90937-w, https://www.nature.com/articles/s41598-025-90937-w .
ChPL Imaavy®	Charakterystyka Produktu Leczniczego <i>Imaavy®</i>
ChPL Mestinon®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Mestinon®
ChPL Predasol®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Predasol®
ChPL Ultomiris®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Ultomiris®
ChPL Vyvgart®	Charakterystyka Produktu Leczniczego Vyvgart®
Dane NFZ	NFZ, Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do lutego 2026 r.
Dane przetargowe	Przetarg: COZL/DZP/AW/3411/PN-190/25; https://platformazakupowa.pl/transakcja/1236685
Dionisio 2025	Moniz Dionísio J., Ambrose P., Burke G., et al., <i>Efgartigimod efficacy and safety in refractory myasthenia gravis: UK's first real-world experience</i> , „Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry” t. 96 nr 4 (2025), DOI: 10.1136/jnnp-2024-334086, https://jnnp.bmj.com/lookup/doi/10.1136/jnnp-2024-334086 .
Gold 2008	Gold R., Hohlfeld R., Toyka K.V., <i>Progress in the treatment of myasthenia gravis</i> , „Therapeutic Advances in Neurological Disorders” t. 1 nr 2 (2008), DOI: 10.1177/1756285608093888.

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Gotterer 2016	Gotterer L., Li Y., <i>Maintenance immunosuppression in myasthenia gravis</i> , „Journal of the Neurological Sciences” t. 369 (2016), DOI: 10.1016/j.jns.2016.08.057, https://linkinghub.elsevier.com/retrieve/pii/S0022510X16305482 .
Howard 2021	Howard J.F., Bril V., Vu T., i in., Safety, efficacy, and tolerability of efgartigimod in patients with generalised myasthenia gravis (ADAPT): a multicentre, randomised, placebo-controlled, phase 3 trial, „The Lancet Neurology” t. 20 nr 7 (2021), DOI: 10.1016/S1474-4422(21)00159-9, https://linkinghub.elsevier.com/retrieve/pii/S1474442221001599 .
Informator o umowach NFZ	Informator o umowach NFZ, strona internetowa: https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy/Provider/Search (data dostępu: 17.12.2025)
Itani 2021	Itani K., Nakamura M., Wate R., et al., <i>Efficacy and safety of tacrolimus as long-term monotherapy for myasthenia gravis</i> , „Neuromuscular Disorders” t. 31 nr 6 (2021), DOI: 10.1016/j.nmd.2021.02.010, https://linkinghub.elsevier.com/retrieve/pii/S0960896621000389 .
Mahic 2023b	Mahic M., Bozorg A., DeCourcy J., et al., <i>Physician- and patient-reported perspectives on myasthenia gravis in Europe: a real-world survey</i> , „Orphanet Journal of Rare Diseases” t. 18 nr 1 (2023), DOI: 10.1186/s13023-023-02727-0, https://doi.org/10.1186/s13023-023-02727-0 .
Metotreksat 2016	„Ebetrexat, Metex (metotreksat) w leczeniu chorób autoimmunizacyjnych innych niż określone w ChPL.” Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Raport AOTMiT nr: OT.434.61.2016, 10 stycznia 2017
Mykofenolan mofetylu 2024	„Mykofenolan mofetylu we wskazaniu innym niż określone w ChPL: miastenia” Opracowanie na potrzeby oceny zasadności finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Raport AOTMiT nr: OT.422.1.5.2024. 21 lutego 2024 r.
Mytelase 2023	„Mytelase (ambenonii chloridum) we wskazaniu: miastenia ciężka rzekomoporażna” Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację raport Nr: OT.4211.1.2023. 30 marca 2023
Pane 2024	Pane C., Di Stefano V., Cuomo N., et al., A real-life experience with eculizumab and efgartigimod in generalized myasthenia gravis patients, „Journal of Neurology” t. 271 nr 9 (2024), DOI: 10.1007/s00415-024-12588-7, https://link.springer.com/10.1007/s00415-024-12588-7 .
Program lekowy B.157	Program lekowy „Programu Lekowego B.157 Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastении (G.70.0), regulowany załącznikiem B.157 do <i>Wykazu leków refundowanych</i>
Raport refundacyjny NFZ	Raport refundacyjny o wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń–luty 2026 r.
Raport TLI 2025	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Rystiggo (rozanoliksyzumab) we wskazaniu: do stosowania w terapii dodanej oprócz standardowej terapii w leczeniu uogólnionej miastении (ang. generalised myasthenia gravis, gMG) u dorosłych chorych

Publikacja/Źródło danych	Referencje
Rozporządzenie MZ w sprawie minimalnych wymagań	Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu
Sobieszczyk 2021	Sobieszczyk E., Napiórkowski Ł., Szczudlik P., Kostera-Pruszczyk A., Myasthenia Gravis in Poland: National Healthcare Database Epidemiological Study, „Neuroepidemiology” t. 55 nr 1 (2021), DOI: 10.1159/000512973, https://karger.com/article/doi/10.1159/000512973 .
Sprawozdania NFZ	Okresowe sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia z okresu I kwartał 2025 r. do IV kwartał 2025 r.
Tacrolimus 2022	„Takrolimus we wskazaniu: miastenia” Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego finansowania leków zawierających daną substancję czynną we wskazaniach innych niż wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego. Opracowanie AOTMiT nr: OT.4221.29.2022. 28 kwietnia 2022
Ustawa o refundacji	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.)
Ustawa o świadczeniach opieki zdrowotnej	Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz. U. Nr. 210, poz. 2135
Wykaz leków refundowanych	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 marca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 kwietnia 2026 r.
Wytyczne AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, <i>Wytyczne oceny technologii medycznych</i> , Warszawa 2016
Vu 2022	Vu T., Meisel A., Mantegazza R., et al., <i>Efficacy and Safety of Ravulizumab, a Long-acting Terminal Complement Inhibitor, in Adults with Anti-Acetylcholine Receptor Antibody-Positive Generalized Myasthenia Gravis: Results from the Phase 3 CHAMPION MG Study (P1-1.Virtual)</i> , „Neurology” t. 98 nr 18_supplement (2022), DOI: 10.1212/WNL.98.18_supplement.791, https://www.neurology.org/doi/10.1212/WNL.98.18_supplement.791 .
Vyvgart 2023	Wniosek refundacyjny Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu miastonii, analiza ekonomiczna. warszawa, marzec 2023
Zarządzenie programy lekowe	Zarządzenie nr 93/2025/DGL Prezesa NFZ z dnia 27 listopada 2025 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe