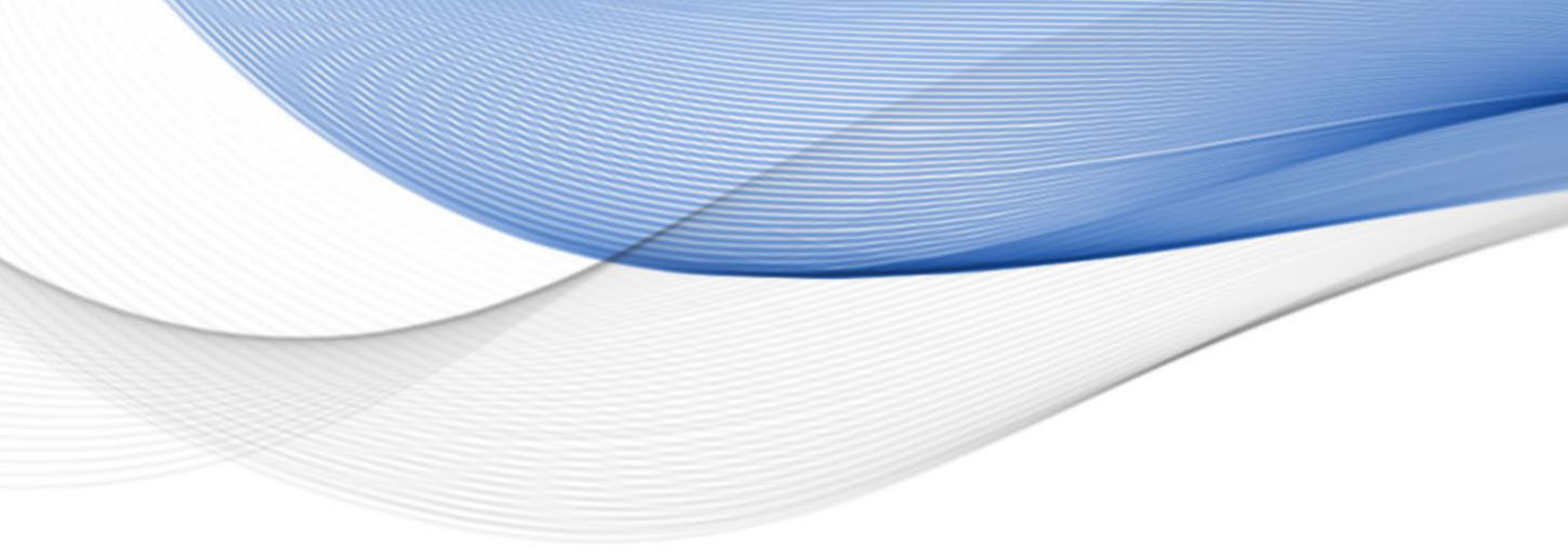




Vyvgart[®] (efgartigimod alfa) w leczeniu miastonii

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, lipiec 2026

Autorzy

[REDACTED]
[REDACTED]

Konsultacje

[REDACTED]
[REDACTED]

Dane kontaktowe

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

Zamawiający

Medison Pharma Sp. z o.o
ul. Hrubieszowska 2
01-209 Warszawa

Informacje dodatkowe

Opracowanie przygotowane na zlecenie i finansowane przez Medison Pharma 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 ..	14
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	15
2.1.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	16
2.2 Opis modelu.....	16
2.3 Perspektywa analizy	18
2.4 Horyzont czasowy analizy	18
2.5 Analizowane koszty	18
2.5.1 Koszt wnioskowanego leku	19
2.5.2 Koszt technologii opcjonalnych - efgartigimod alfa IV	21
2.5.3 Koszt podania leczenia	23
2.5.4 Koszt monitorowania leczenia.....	25
2.6 Scenariusze analizy	26
2.6.1 Scenariusz istniejący.....	26
2.6.2 Scenariusze nowe	27
2.7 Analiza wrażliwości	28
3 Wyniki	30
3.1 Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ	30
3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny.....	31
3.3 Wariant minimalny	33
3.4 Wariant maksymalny.....	34
3.5 Analiza wrażliwości	36
4 Ograniczenia i dyskusja	38
5 Aspekty etyczne, społeczne, prawne, wpływ na organizację udzielania świadczeń	41
6 Wnioski	42

Spis tabel	43
Bibliografia	45

Wykaz skrótów i akronimów

AE	analiza ekonomiczna
AChR-Ab+	obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholiny (ang. <i>acetylcholine receptor antibodies</i>)
AChR	receptor acetylocholiny (ang. <i>acetylcholine receptor</i>)
AEK	analiza efektywności klinicznej
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CIDP	przewlekła zapalna polineuropatia demielinizacyjna (ang. <i>chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy</i>)
DGL	Departament Gospodarki Lekami
gMG	uogólniona postać miastonii (ang. <i>generalized Myasthenia Gravis</i>)
GUS	Główny Urząd Statystyczny
IV	dożylny (ang. <i>intravenous</i>)
mg	miligram
MG	miastenia (ang. <i>myasthenia gravis</i>)
MZ	Minister Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PL	program lekowy
PLN	Polski Złoty
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)
SC	podskórny (ang. <i>subcutaneous</i>)
SD	odchylenie standardowe (ang. <i>standard deviation</i>)

Streszczenie

Cel pracy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego związanego z wydaniem pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce stosowanego w populacji dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), stosujących standardową terapię zgodnie z zapisami programu lekowego B.157. Leczenie chorych z uogólnioną postacią miastonii (G.70.0)

Metody

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie dwóch kolejnych lat. Analizę kosztów terapii lekiem Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (efgartigimod alfa SC) przeprowadzono na tle kosztów terapii preparatem Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji (efgartigimod alfa IV).

Ze względu na wnioskowane warunki refundacji preparatu Vyvgart®, tj. refundacja w ramach programu lekowego odstąpiono od przeprowadzania analizy dopłat pacjentów. Liczebność docelowej populacji szacowano w oparciu o dane uzyskane od Narodowego Funduszu Zdrowia pochodzące z systemu sprawozdawczo-rozliczeniowego Centrali NFZ, dotyczące liczby pacjentów kwalifikowanych miesięcznie do terapii dożylnym efgartigimodem alfa w ramach programu lekowego B.157. Dodatkowo w celu uwzględnienia trendu wzrostowego liczby pacjentów leczonych efgartigimodem alfa w czasie, wykorzystano Otwarte dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z określonym rozpoznaniem według ICD-10, u których zastosowano produkt leczniczy identyfikowany za pomocą odpowiedniego kodu EAN. W analizie uwzględniono koszty leków, koszty podania oraz monitorowania leczenia. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w którym oszacowano koszty leczenia pacjentów 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. Poszczególne warianty scenariusza istniejącego i nowego różnią się liczebnością populacji kwalifikującej się do leczenia analizowanymi substancjami. W analizie przedstawiono wariant, w którym preparat Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce jest refundowany [REDAKTOWANE], w kategorii dostępności refundacyjnej: lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto (katalog B).

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w dwóch wariantach, tj. z uwzględnieniem i bez uwzględnienia umów podziału ryzyka. W niniejszym streszczeniu ograniczono opis wyników do wyników z uwzględnieniem umów podziału ryzyka, ze względu na fakt, że dla płatnika publicznego są to najistotniejsze i najbardziej informatywne wyniki.

Wyniki

Liczebność docelowej populacji oszacowano na [REDAKTOWANE] pacjentów w 1. roku analizy oraz [REDAKTOWANE] w 2. roku.

Wyniki wszystkich wariantów przeprowadzonej analizy wskazują, że pozytywna decyzja dotycząca finansowania wnioskowanego preparatu będzie wiązała się ze **spadkiem** wydatków NFZ.

Tab. 1. Zestawienie wyników analizy – zmiana kosztów vs scenariusz istniejący.

Wariant analizy	Perspektywa NFZ, PLN	
	1. rok analizy	2. rok analizy
Wariant najbardziej prawdopodobny		
Wariant minimalny		
Wariant maksymalny		

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN – polski złoty.

Analiza wrażliwości

Dodatkowo w ramach analizy wpływu na budżet przeprowadzono analizę wrażliwości dla parametru mającego największy wpływ na ostateczne wyniki analizy, tj. odsetka pacjentów przerywających leczenie. Analiza wrażliwości została wykonana jedynie dla wariantu podstawowego.

Przy odsetkach pacjentów przerywających leczenie przyjętych w oparciu o badania kliniczne redukcja wydatków refundacyjnych była niższa w porównaniu do wariantu podstawowego – odpowiednio o 37% w 1. roku oraz 40% w 2. roku analizy.

Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce będzie wiązać się z obniżeniem wydatków refundacyjnych [redacted] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Jednocześnie wprowadzenie tej postaci leku przyniesie dodatkowe korzyści systemowe i kliniczne, obejmujące: niższe koszty podania terapii, zwiększenie komfortu pacjentów, odciążenie ośrodków szpitalnych oraz większą elastyczność i satysfakcję pacjentów w długotrwałym leczeniu.

1 Cel analizy

Celem analizy jest oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, stosowanego w leczeniu dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), stosujących standardową terapię zgodnie z zapisami programu lekowego B.157.

Analizę kosztów terapii lekiem Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (efgartigimod SC) przeprowadzono na tle kosztów terapii preparatem Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji (efgartigimod IV). Założono, że podskórna postać efgartigimodu będzie przejmować jedynie rynek dożylnych postaci, tj. nie wpłynie na rynek rawulizumabu oraz rozanoliksyzumabu. W konsekwencji substancje te nie zostały uwzględnione w niniejszej analizie BIA. Założenie to wynika z następujących przesłanek:

- Tożsamość substancji czynnej i wskazania – efgartigimod SC i IV to różne postaci farmaceutyczne tego samego leku, stosowanego w identycznej populacji pacjentów (dorośli z uogólnioną miastenią). Wprowadzenie podskórnej formy nie rozszerza zatem populacji leczonej, a jedynie oferuje alternatywną drogę podania.
- Porównywalna skuteczność – dostępne dane kliniczne wskazują, że obie postaci leku charakteryzują się porównywalnym profilem skuteczności i bezpieczeństwa. W konsekwencji przewiduje się, że lekarze oraz pacjenci będą traktować obie formy jako opcje równoważne terapeutycznie, a decyzja o wyborze będzie zależna głównie od preferencji związanych z drogą podania i organizacją leczenia.
- Doświadczenia rynkowe z innych obszarów – wprowadzenie nowych postaci farmaceutycznych tej samej substancji czynnej (np. formy SC vs IV dla leków biologicznych takich jak rytuksymab) skutkowało przesunięciem rynku wewnątrz danej substancji, bez wpływu na udział rynkowy innych leków z odmiennych klas terapeutycznych [Jang 2021].

Ze względu na wnioskowane warunki refundacji preparatu Vyvgart®, tj. refundacja w ramach programu lekowego odstąpiono od przeprowadzania analizy dopłat pacjentów.

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 prognozą, 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, produkt leczniczy Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce zarejestrowany jest w następujących wskazaniach [ChPL Vyvgart]:

- leczenie uzupełniające do standardowej terapii dorosłych pacjentów z uogólnioną miastenią rzekomoporażną (gMG), u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (AChR);
- monoterapia w leczeniu dorosłych pacjentów z postępującą lub nawracającą aktywną przewlekłą zapalną polineuropatią demielinizacyjną (CIDP) po wcześniejszym leczeniu kortykosteroidami lub immunoglobulinami.

Miastenia

Liczebność populacji obejmującej pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana we wnioskowanym wskazaniu, oszacowano na podstawie badania Sobieszczuk 2021, w którym raportowano rozpowszechnienie miastenii w Polsce. Dane demograficzne dotyczące liczby dorosłych mieszkańców Polski zaczerpnięto z danych Głównego Urzędu Statystycznego [GUS 2024]. W celu doprecyzowania populacji zgodnie ze wskazaniem rejestracyjnym wykorzystano również odpowiednie odsetki zaczerpnięte z publikacji Dresser 2021 oraz Lazaridis 2020. W Tab. 2. przedstawiono kolejne kroki oszacowania populacji z miastenią.

Tab. 2. Liczebność populacji obejmującej pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana w leczeniu miastenii.

Parametr	Liczba pacjentów	Źródło
Ludność kraju - dorośli (≥ 18 lat)	30 744 000	GUS 2024
Rozpowszechnienie MG (22,65/100 000 osób)	6 964	Sobieszczuk 2021
Odsetek pacjentów z gMG (80%)	5 571	Dresser 2021
Odsetek pacjentów AChR-Ab+ (85%)	4 735	Lazaridis 2020

MG – miastenia (ang. *myasthenia gravis*), gMG – uogólniona postać miastenii (ang. *generalized Myasthenia Gravis*), AChR-Ab+ – obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino (ang. *acetylcholine receptor antibodies*).

Polineuropatia demielinizacyjna

Liczebność populacji dorosłych pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana w leczeniu postępującej lub nawracającej aktywnej przewlekłej zapalnej polineuropatii demielinizacyjnej (CIDP) po wcześniejszym leczeniu kortykosteroidami lub immunoglobulinami, oszacowano w oparciu o dostępne dane epidemiologiczne

i demograficzne. Podstawą oszacowania była wartość globalnego rozpowszechnienia CIDP (2,81/100 000), pochodząca z metaanalizy Broers 2019. Dane demograficzne dotyczące liczby dorosłych mieszkańców Polski zaczerpnięto z danych Głównego Urzędu Statystycznego [GUS 2024]. W celu doprecyzowania populacji zgodnie ze wskazaniem, uwzględniono strukturę przebiegu choroby opisaną w publikacji Chiò 2007, w której wykazano, że około 62% pacjentów ma przewlekle postępujący przebieg, a około 26% – rzutowo-remisyjny. Te dwie grupy odpowiadają populacji pacjentów z postępującą lub nawracającą postacią choroby, zgodnie z analizowanym wskazaniem. Kolejne etapy szacowania populacji przedstawiono w Tab. 3.

Tab. 3. Liczebność populacji obejmującej pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana w leczeniu CIDP.

Parametr	Liczba pacjentów	Źródło
Ludność kraju - dorośli (≥ 18 lat)	30 744 000	GUS 2024
Rozpowszechnienie CIDP (2,81/100 000 osób)	864	Broers 2019
Odsetek pacjentów z postępującą/nawracającą postacią choroby (88%)	760	Chiò 2007

CIDP – przewlekła zapalna polineuropatia demielinizacyjna (ang. *chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy*).

Podsumowanie

Zgodnie z przeprowadzonym oszacowaniem, liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana wynosi 5,5 tys. osób – patrz Tab. 4.

Tab. 4. Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Wskazanie	Liczba pacjentów	Źródło
Pacjenci z gMG, u których stwierdzono obecność przeciwciał przeciwko receptorowi acetylocholino	4 735	Tab. 2
Pacjenci z postępującą lub nawracającą aktywną CIDP po wcześniejszym leczeniu kortykosteroidami lub immunoglobulinami	760	Tab. 3.
SUMA	5 495	-

gMG – uogólniona postać miastonii (ang. *generalized Myasthenia Gravis*), CIDP – przewlekła zapalna polineuropatia demielinizacyjna (ang. *chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy*).

2.1.2 Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku

Wnioskowana jest refundacja preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce w ramach programu lekowego B.157.

Szacowanie liczebności populacji docelowej wskazanej we wniosku w I roku analizy przeprowadzono w oparciu o dane uzyskane od Narodowego Funduszu Zdrowia pochodzące z systemu sprawozdawczo-rozliczeniowego Centrali NFZ, dotyczące liczby pacjentów kwalifikowanych miesięcznie do terapii dożylnym efgartigimodem alfa w ramach programu lekowego B.157 [NFZ 2025]. Zastosowane dane źródłowe zestawiono w tabeli poniżej.

Tab. 5. Zestawienie danych źródłowych NFZ wykorzystanych do oszacowania miesięcznej liczby pacjentów kwalifikowanych do terapii efgartigimodem alfa.

Rok i miesiąc realizacji	Liczba nowych pacjentów w PL B.157 leczonych dożylnym efgartigimodem alfa
2024-07	
2024-08	
2024-10	
2024-11	
2024-12	
2025-01	
2025-02	
2025-03	
2025-04	
2025-05	
2025-06	
2025-07	

Do analizy wykorzystano wyłącznie dane z roku 2025, ponieważ od tego roku zmienił się sposób rozliczania leku – NFZ rozlicza obecnie całe fiołki, a nie miligramy substancji czynnej (jak miało to miejsce przez 2025 rokiem). Z zestawu miesięcznych wartości za rok 2025 pominięto miesiące, w których liczba pacjentów była skrajnie niska, tj. wynosiła jeden (styczeń i maj). W ramach analizy podstawowej przyjęto miesięczną liczbę pacjentów odpowiadającą medianie z miesięcznych wartości obserwowanych w 2025 roku (z pominięciem miesięcy o skrajnie niskich wynikach). W ramach analizy wrażliwości zastosowano dodatkowo dwa warianty – minimalny i maksymalny – odpowiadające odpowiednio 25. i 75. percentylowi rozkładu danych - patrz Tab. 6.

Tab. 6. Założenia dotyczące miesięcznej liczby nowo włączanych pacjentów do terapii efgartigimodem alfa.

Wariant analizy	Liczba pacjentów/miesiąc
Najbardziej prawdopodobny	
Minimalny	
Maksymalny	

Oszacowana w ten sposób liczba pacjentów rozpoczynających leczenie efgartigimodem alfa w I roku analizy wyniosła odpowiednio: [REDACTED]

W celu uwzględnienia trendu wzrostowego liczby pacjentów leczonych efgartigimodem alfa w czasie, wykorzystano dodatkowo dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z określonym rozpoznaniem według ICD-10, u których zastosowano produkt leczniczy identyfikowany za pomocą odpowiedniego kodu EAN [Otwarte dane]. W analizie wykorzystano dane dotyczące pacjentów leczonych efgartigimodem alfa z rozpoznaniem miastennii oznaczonym kodem ICD-10 G70.0. Na podstawie danych NFZ określono liczbę pacjentów leczonych efgartigimodem alfa w kolejnych 12-miesięcznych okresach obserwacji, aktualizowanych co kwartał.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

██████████	██████████	██████████
██████████	██████████	██████████
██████████	██████████	██████████
██████████	██████████	██████████

[REDACTED]

Tab. 10. Liczebność populacji docelowej wskazanej we wniosku.

Wariant analizy	Liczba pacjentów		Źródło
	I rok	II rok	
Najbardziej prawdopodobny			Szacunki oparte na danych NFZ + tempo wzrostu oszacowane w oparciu o otwarte dane NFZ
Minimalny			
Maksymalny			

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

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez wnioskodawcę, preparat Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce nie jest aktualnie stosowany w Polsce.

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. 12. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.

Populacja	Liczebność populacji		Odnosnik do rozdziału i tabeli
	I rok	II rok	
Wszyscy pacjenci, u których wnioskowana technologia może być zastosowana			Rozdział 2.1.1, Tab. 4
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku			Rozdział 2.1.2, Tab. 10.
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana		0	Rozdział 2.1.3
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym, wariant najbardziej prawdopodobny			Rozdział 2.1.4, Tab. 11
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym, wariant minimalny			Rozdział 2.1.4, Tab. 11
Pacjenci stosujący wnioskowaną technologię w scenariuszu nowym, wariant maksymalny			Rozdział 2.1.4, Tab. 11

2.2 Opis modelu

Model analizy wpływu na budżet oparto na założeniach i wynikach modelu analizy ekonomicznej [AE Vyvgart]. Model analizy wpływu na budżet opracowano w skrószycie programu Microsoft Excel. W analizie wpływu na budżet, podobnie jak w przypadku analizy ekonomicznej, uwzględniono koszty leków tj. koszt preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce oraz koszt preparatu Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji, a także koszty podania i monitorowania leczenia.

Kalkulator BIA składa się 5 głównych arkuszy:

- „Ustawienia” – arkusz, w którym definiuje się podstawowe ustawienia analizy;
- „Populacja” – arkusz z szacunkami populacji docelowej kwalifikującej się do leczenia analizowanymi substancjami;
- „Dane kosztowe” – arkusz z szacunkami kosztów analizowanych substancji;
- „Wyniki” – arkusz z wynikami analizy;
- „Referencje” – arkusz z referencjami prac wykorzystanych w modelu.

Nawigacja pomiędzy arkuszami odbywa się przez zakładkę "NAWIGACJA" na wstążce skoroszytu. Prawidłowe działanie arkusza wymaga włączenia funkcji makr.

Dodatkowo kalkulator zawiera arkusze pomocnicze i obliczeniowe w tym:

- „Start” – arkusz startowy;
- „Wprowadzenie” – arkusz zawierający skrócony opis modelu, informacje na temat kodowania kolorów komórek tj. informacje, które komórki są modyfikowalne;
- „Parametry w modelu” – podsumowanie wszystkich parametrów wejściowych uwzględnionych w modelu, w niniejszym arkuszu można wprowadzać własne wartości dla poszczególnych parametrów;
- „Szacowanie całkowitej populacji” – arkusz, w którym podsumowano metodykę szacowania liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana;
- „Aktualne roczne wydatki” – arkusz, w którym podsumowano aktualne roczne wydatki NFZ ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku;
- „Efgartigimod SC”, „Efgartigimod IV” – arkusze stanowiące główną część modelowania analizy ekonomicznej (tzw. „engine”);
- „Efgartigimod_SC_obecny”, „Efgartigimod_IV_obecny” – obliczenia dla scenariuszy istniejących;
- „Efgartigimod_SC_nowy”, „Efgartigimod_IV_nowy” – obliczenia dla scenariuszy nowych;
- „Przerwanie leczenia” – arkusz z podsumowaniem danych z zakresu odsetka pacjentów przerywających leczenie;
- „Parametry kliniczne” – kalkulacja parametrów dotyczących odstępów pomiędzy cyklami leczenia oraz dawkowania;
- „Podanie leku” – arkusz z szacowaniem odsetka pacjentów, u których podanie preparatu SC jest realizowane w ramach hospitalizacji lub przyjęcia

ambulatoryjnego, oraz odsetka pacjentów, którzy przyjmują lek samodzielnie/z pomocą opiekuna;

- „Model logarytmiczny”, „Projekcja miesięczna” – arkusze z szacowaniem dynamiki wzrostu populacji;
- „DGL” – arkusz zawierający procentowe udziały leków w grupach limitowych;
- „Mechanizm” – zdefiniowanie list rozwijanych uwzględnionych w modelu.

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) oraz z perspektywy wspólnej, tj. podmiotu finansującego świadczenia ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (pacjenta).

Ze względu na zakładany sposób finansowania produktu leczniczego Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (wnioskowane jest finansowanie w ramach programu lekowego) oraz aktualny sposób finansowania uwzględnionej w analizie technologii opcjonalnej (program lekowy) w zakresie głównych składowych kosztów (koszt leku, koszt podania leczenia, koszt monitorowania leczenia) nie dochodzi do współpłacenia przez pacjenta, dlatego wyniki przedstawiono jedynie z perspektywy płatnika publicznego i odstąpiono od przeprowadzania 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, tj. zgodnie z ustawą refundacyjną, pierwsza decyzja administracyjna o objęciu refundacją wydawana jest na 2 lata [Ustawa refundacyjna 2011].

2.5 Analizowane koszty

W analizie uwzględniono następujące kategorie kosztów:

- wnioskowanego leku,
- technologii opcjonalnej,
- podania leczenia,
- monitorowania leczenia.

W analizie nie szacowano kosztów leczenia zdarzeń niepożądanych, ponieważ koszty te nie różnicują ocenianych technologii.

W niniejszej analizie rozpatrzono dwa warianty kosztowe: z RSS oraz bez RSS. W wariantcie bez RSS uwzględniono ceny bez mechanizmu dzielenia ryzyka zarówno dla wnioskowanego leku, jak i dla technologii opcjonalnej. Natomiast w wariantcie z RSS zastosowano ceny uwzględniające mechanizm dzielenia ryzyka dla obu analizowanych technologii.

2.5.1 Koszt wnioskowanego leku

2.5.1.1 Uzasadnienie kategorii odpłatności i kwalifikacji do grupy limitowej wnioskowanego leku

Uzasadnienie kategorii odpłatności

Wnioskowane jest wprowadzenie finansowania preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce ze środków publicznych w leczeniu dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholiny (AChR-Ab+), stosujących standardową terapię zgodnie z zapisami programu lekowego B.157 w ramach programu lekowego, tj. katalog B: lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto.

Zgodnie z aktualną ustawą refundacyjną (art. 14 ustawy), lek mający udowodnioną skuteczność w leczeniu nowotworu złośliwego albo lek stosowany w ramach programu lekowego kwalifikuje się do kategorii odpłatności „bezpłatny” [Ustawa refundacyjna 2011].

Uzasadnienie kwalifikacji do grupy limitowej

[Redacted text block containing multiple lines of blacked-out content]

2.5.1.2 Koszt wnioskowanego leku - efgartigimod alfa SC

Wniosek refundacyjny, złożony przez zleceniodawcę analizy, obejmuje jedną prezentację preparatu Vyvgart®:

- Vyvgart 1 000 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, 1 × 5 ml.

Cenę zbytu netto preparatu Vyvgart® wyznaczono w oparciu o dane przekazane przez wnioskodawcę.

Zużycie efgartigimodu alfa SC wyznaczono w oparciu o schemat podawania opisany w charakterystyce produktu leczniczego. Zalecana dawka to 1 000 mg (1 ampułkostrzykawka) w postaci wstrzyknięć podawanych podskórnie w cyklach raz w tygodniu przez 4 tygodnie. Kolejne cykle leczenia powinny być podawane zgodnie z oceną kliniczną, przy czym w badaniach klinicznych najwcześniejszy możliwy moment rozpoczęcia następnego cyklu przypadął na 7. tydzień od pierwszego podania w cyklu poprzednim [ChPL Vyvgart].

Tab. 13. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (bez RSS).

RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *risk sharing scheme*).

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

[REDACTED]

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

Tab. 14. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (z RSS).

Kategoria	Vyvgart 1 000 mg, roztwór do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, 1 × 5 ml
Cena zbytu netto [PLN]	
Urzędowa cena zbytu [PLN]	
Cena hurtowa brutto [PLN]	
Cena za 1 ampułkostrzykawkę [PLN]	

RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *risk sharing scheme*).

2.5.2 Koszt technologii opcjonalnych - efgartigimod alfa IV

Zgodnie z informacjami przedstawionymi w aktualnym obwieszczeniu MZ ustalono, że w analizowanym wskazaniu refundowana jest obecnie jedna prezentacja preparatu Vyvgart®: koncentrat do sporządzania roztworu do infuzji, 400 mg (1 fiolka, 20 ml) [Obwieszczenie MZ].

Koszt preparatu Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji oszacowano na podstawie danych raportowanych w aktualnym obwieszczeniu Ministra Zdrowia. Kosz z RSS dożylniej formulacji preparatu Vyvgart® oszacowano na podstawie danych przekazanych przez zleceniodawcę.

Szczegółowe oszacowania kosztu efgartigimodu alfa IV przedstawiono w arkuszu kalkulacyjnym analizy (zakładka: Parametry kosztowe). Dane dotyczące kosztu terapii efgartigimodem alfa podawanym dożylnie przedstawiono w Tab. 15.

Tab. 15. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji.

Wariant	Koszt za 1 fiolkę preparatu Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji [PLN]
Bez RSS	
Z RSS	

Ab+ stanowili ok. 90% uczestników badania. Dla każdego z badań wyliczono odsetek pacjentów w poszczególnych kategoriach masy ciała (≤ 40 kg, 40-80 kg, >80 kg), a następnie uzyskane wartości połączono, stosując średnią ważoną wielkością próby (n). Otrzymane w ten sposób uśrednione odsetki stanowiły wartości przyjęte do analizy podstawowej. W ramach analizy wrażliwości testowano natomiast scenariusze oparte na danych z każdego źródła osobno, tj. dane dla ramienia SC z badania ADAPT-SC, dane dla ramienia IV z badania ADAPT-SC, dane dla całej populacji badań CHAMPION MG oraz MycarinG. Wyniki przedstawiono w Tab. 17.

Tab. 17. Rozkład masy ciała pacjentów wykorzystany do wyznaczenia dawkowania efgartigimodu alfa IV.

Badanie (populacja)	n	Średnia masa ciała $\pm$ SD (kg)	≤ 40 kg (1 fiolka)	40-80 kg (2 fiolki)	>80 kg (3 fiolki)
ADAPT-SC (ramię SC, populacja AChR-Ab+)	45	77,3 $\pm$ 19,6	2,85%	52,63%	44,52%
ADAPT-SC (ramię IV, populacja AChR-Ab+)	46	83,9 $\pm$ 22,8	2,71%	40,50%	56,79%
CHAMPION MG (wszyscy, AChR-Ab+)	175	91,2 $\pm$ 26,6	2,71%	30,97%	66,31%
MycarinG FDA (wszyscy)	200	81,1 $\pm$ 23,9	4,27%	43,89%	51,84%
Średnia*	-	-	3,40%	39,55%	57,06%

AChR-Ab - przeciwciała przeciwko receptorowi acetylocholiny (ang. *acetylcholine receptor antibodies*), IV - podanie dożylnie, SC - podanie podskórne, n - wielkość próby.

*Średnia ważona wielkością próby.

2.5.3 Koszt podania leczenia

W przypadku efgartigimodu alfa podawanego we wlewie dożylnym (efgartigimod alfa IV) przyjęto, że jego podanie odbywa się w ramach świadczeń: hospitalizacja związana z wykonaniem programu/hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu lekowego. Koszt związany z podaniem leku w programie lekowym wyznaczono na podstawie Zarządzenia nr 75/2026/DGL.

Tab. 18. Koszt podania efgartigimodu alfa IV.

Nazwa i kod świadczenia	Wartość punktowa	Średnia wartość punktowa	Koszt punktu* [PLN]	Skorygowany koszt procedury [PLN]
Hospitalizacja związana z wykonaniem programu, 5.08.07.0000001	497,90	492,31	1,87	920,62
Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu, 5.08.07.0000003	486,72			

*Wycenę punktu rozliczeniowego przyjęto w oparciu o wycenę danego świadczenia w każdym województwie (po jednej umowie o największej wartości z każdego województwa za 2026 r.), w obliczeniach uwzględniono medianę ze wszystkich województw.

Zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego, w przypadku leku Vyvgart® w postaci podskórnej w ampułkostrzykawce, wszystkie cztery podania leku w cyklu pierwszym oraz pierwsze podanie drugiego cyklu musi zostać wykonane lub nadzorowane przez pracownika służby zdrowia [ChPL Vyvgart]. Kolejne dawki mogą być aplikowane w domu samodzielnie przez pacjenta lub jego opiekuna, pod warunkiem odpowiedniego przeszkolenia.

W modelu założono, że podania wykonywane lub nadzorowane przez personel medyczny rozliczane są w ramach jednego z dwóch świadczeń: hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu lekowego albo przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu lekowego. W przypadku podań samodzielnych przez pacjenta lub opiekuna nie naliczano dodatkowego kosztu podania. Koszty związane z podaniem leków w programie lekowym wyznaczono na podstawie Zarządzenia nr 75/2026/DGL.

Szczegółowe dane podsumowano w Tab. 19.

Tab. 19. Koszt podania efgartigimodu alfa SC.

Nazwa i kod świadczenia	Wartość punktowa	Średnia wartość punktowa	Koszt punktu* [PLN]	Skorygowany koszt procedury [PLN]
Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu, 5.08.07.0000003	486,72	492,31	1,87	910,17
Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu, 5.08.07.0000004	108,16	108,16	1,87	202,26

Nazwa i kod świadczenia	Wartość punktowa	Średnia wartość punktowa	Koszt punktu* [PLN]	Skorygowany koszt procedury [PLN]
Samodzielne podanie leku przez pacjenta/opiekuna [PLN]				0

*Wycenę punktu rozliczeniowego przyjęto w oparciu o wycenę danego świadczenia w każdym województwie (po jednej umowie o największej wartości z każdego województwa za 2026 r.), w obliczeniach uwzględniono medianę ze wszystkich województw.

Odsetki niesamodzielnych podań efgartigimodu alfa SC, obejmujących podania w pierwszym cyklu oraz pierwsze podanie w drugim cyklu, oszacowano na podstawie danych dotyczących realizacji programu lekowego B.107 „Leczenie chorych z przewlekłą pokrzywką spontaniczną”. Szczegółowy sposób przeprowadzenia oszacowań przedstawiono w analizie ekonomicznej [AE Vyvgart]. Przyjęto, że 45% podań jest realizowanych w ramach hospitalizacji jednodniowej, natomiast 55% - w trybie ambulatoryjnym. Założono również, że począwszy od drugiego podania w drugim cyklu wszystkie kolejne dawki są podawane samodzielnie przez pacjenta lub jego opiekuna. Podsumowanie założeń dotyczących sposobu podawania efgartigimodu alfa SC uwzględnionych w analizie przedstawiono Tab. 22.

Tab. 20. Założenia dotyczące sposobu podawania efgartigimodu alfa SC, uwzględnione w analizie.

Zakres podań	Hospitalizacja jednodniowa	Przyjęcie ambulatoryjne	Podanie samodzielne/przez opiekuna
I cykl oraz 1. podanie II cyklu	45%	55%	0%
Od 2. podania II cyklu i kolejne	0%	0%	100%

2.5.4 Koszt monitorowania leczenia

Koszt diagnostyki i monitorowania leczenia w ramach programu lekowego B.157 przyjęto na podstawie zarządzenia nr 75/2026/DGL, załącznik nr 1l. Koszt monitorowania i diagnostyki rozliczane są jako ryczałt roczny. Na potrzeby modelu roczny ryczałt przeliczono na koszt tygodniowy.

Szczegółowe dane podsumowano w Tab. 21.

Tab. 21. Koszt monitorowania leczenia.

Nazwa i kod świadczenia	Wartość punktowa	Koszt punktu* [PLN]	Skorygowany koszt procedury [PLN]	Koszt tygodniowy [PLN]
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastonii (efgartigimod alfa) - 1 rok terapii, 5.08.08.0000251	975	1,87	1 823,25	35,06
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastonii (efgartigimod alfa) - 2 i kolejny rok terapii, 5.08.08.0000252	900	1,87	1 683,00	32,37

*Wycenę punktu rozliczeniowego przyjęto w oparciu o wycenę danego świadczenia w każdym województwie (po jednej umowie o największej wartości z każdego województwa za 2026 r.), w obliczeniach uwzględniono medianę ze wszystkich województw.

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 Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, a stosowany jest jedynie preparat Vyvgart® w postaci do infuzji dożylniej.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono zmienność takich parametrów, jak:

- liczebność populacji docelowej.

Powyższy parametr posłużył do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza istniejącego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 22. Szczegółowe uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (2.1).

Tab. 22. Zestawienie założeń wariantów scenariusza istniejącego.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji
Liczebność populacji docelowej				Szczegółowe informacje przedstawiono w rozdziale 2.1.2.

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 Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce do refundacji.

W scenariuszu nowym uwzględniono zmienność takich parametrów, jak:

- liczebność populacji docelowej.

Powyższe parametry posłużyły do zdefiniowania trzech wariantów scenariusza istniejącego: najbardziej prawdopodobnego, minimalnego i maksymalnego – patrz Tab. 23. Uzasadnienie zakresu zmienności testowanych parametrów przedstawiono w poprzednich rozdziałach (2.1).

W modelu przyjęto założenie, że w trakcie terapii część pacjentów otrzymujących efgartigimod alfa w postaci dożylną (IV) zostanie z czasem przełączona na postać podskórną (SC). Oznacza to, że pacjenci rozpoczynający leczenie efgartigimodem alfa IV będą w dalszym etapie terapii sukcesywnie przechodzili na podanie SC.

Tab. 23. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji
Liczebność populacji docelowej				Szczegółowe informacje przedstawiono w rozdziale 2.1.2.

Zmienna	Wariant najbardziej prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny	Uzasadnienie parametryzacji
Udział wnioskowanego preparatu				

SC – podskórnym.

2.7 Analiza wrażliwości

Dodatkowo w ramach analizy wpływu na budżet przeprowadzono analizę wrażliwości dla parametru mającego największy wpływ na ostateczne wyniki analizy ekonomicznej (w wariancie z RSS), tj.

- Odsetka pacjentów przerywających leczenie.

Analizę wrażliwości została wykonana jedynie dla wariantu podstawowego.

W ramach analizy podstawowej uwzględniono odsetki pacjentów przerywających leczenie z powodu braku skuteczności oraz działań niepożądanych, toksyczności i nadwrażliwości na lek na podstawie danych uzyskanych od Narodowego Funduszu Zdrowia [NFZ 2025]. W ramach analizy wrażliwości testowano wariant, w którym przerwanie leczenia z wyżej wymienionych powodów oszacowano w oparciu o badania kliniczne – patrz [AE Vyvgart]. Wartości testowane w ramach analizy wrażliwości przedstawiono w Tab. 24.

Tab. 24. Prawdopodobieństwo przerywania leczenia na podstawie danych od NFZ i badań klinicznych.

Cykl leczenia	Analiza podstawowa (dane NFZ)	Analiza wrażliwości (badania kliniczne)
Przerwanie leczenia z powodu braku skuteczności		
Po 2 cyklu		
Po 3 cyklu		

Cykl leczenia	Analiza podstawowa (dane NFZ)	Analiza wrażliwości (badania kliniczne)
Po 4 i kolejnych cyklach		
Przerwanie leczenia z powodu działań niepożądanych, toksyczności lub nadwrażliwości na lek/tydzień		
I cykl leczenia		
II i kolejne cykle leczenia		

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 oszacowano na podstawie danych raportowanych w sprawozdaniu NFZ za IV kwartał 2025 roku. Na podstawie danych raportowanych w sprawozdaniu NFZ z 2025 roku oszacowano, że koszty leczenia dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastennii (pacjenci leczeni w ramach programu lekowego B.157), wynoszą rocznie około 34 mln – patrz Tab. 25.

Należy podkreślić, że przedstawione oszacowanie ma charakter przybliżony i odnosi się do wszystkich pacjentów leczonych w ramach programu lekowego B.157 w 2025 roku. Ponadto należy podkreślić, że wskazanie refundacyjne dla rytuksymabu jest szersze niż wnioskowana populacja.

Tab. 25. Aktualne roczne wydatki NFZ na leczenie pacjentów w ramach programu lekowego B.157.

Procedura	Liczba rozliczonych jednostek rozliczeniowych (dane na IV kwartał 2025 r.)	Wartość punktowa	Koszt [PLN]	Roczny koszt całkowity [PLN]
Hospitalizacja związana z wykonaniem programu	165	497,90*	931,07***	153 627,05
Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu	229	486,72*	910,17***	208 428,11
Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu	266	108,16*	202,26***	53 800,95
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (rytuksymab) – 1 rok terapii	27,62	2 025,00**	3 786,75***	104 593,06
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (rytuksymab) – 2 i kolejny rok terapii	1,41	610,00**	1 140,70***	1 611,12
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (efgartigimod alfa) – 1 rok terapii	14,56	975,00**	1 823,25***	26 547,98
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (efgartigimod alfa) – 2 i kolejny rok terapii	0,50	900,00**	1 683,00***	841,16
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (ravulizumab) – 1 rok terapii	3,50	600,00**	1 122,00***	3 922,96
Diagnostyka w programie leczenia chorych z uogólnioną postacią miastennii (ravulizumab) – 2 i kolejny rok terapii	0,08	450,00**	841,50***	70,10

Procedura	Liczba rozliczonych jednostek rozliczeniowych (dane na IV kwartał 2025 r.)	Wartość punktowa	Koszt [PLN]	Roczny koszt całkowity [PLN]
Rytuksymab – 1 mg	159 479	-	1,15 [^]	183 244,63
Rawulizumab – 1 mg	121 300	-	48,07 ^{^^}	5 830 976,13
Efgartigimod alfa – 1 fiołka	1 432	-	19 300,00 ^{^^^}	27 640 523,95
SUMA				34 208 187,19

^{*}Dane uwzględnione na podstawie informacji raportowanych w Zarządzeniu nr 75/2026/DGL, załącznik 1k; ^{**}Dane uwzględnione na podstawie informacji raportowanych w Zarządzeniu nr 75/2026/DGL, załącznik 1l; ^{***}Koszt wyznaczony przy uwzględnieniu ceny za 1 punkt na poziomie 1,87. Wycenę punktu rozliczeniowego przyjęto w oparciu o świadczenia w każdym województwie (po jednej umowie o największej wartości z każdego województwa za 2026 r.), w obliczeniach uwzględniono medianę ze wszystkich województw;

[^]Koszt za mg rytuksymabu przyjęto w oparciu o koszt za mg raportowany w komunikacie dotyczącym średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do kwietnia 2026 r. [Komunikat DGL], dane za 04.2026;

^{^^}Koszt za mg rawulizumabu wyznaczono w oparciu o dane IkarPro dla leku Ultomiris® [IkarPro Ultomiris], dane za 07.2025;

^{^^^}Koszt za 1 fiołkę.

Podsumowując, aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku wynoszą: 34,2 mln PLN.

Koszt refundacji terapii lekiem Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce we wnioskowanym wskazaniu wynosi 0 PLN.

3.2 Wariant najbardziej prawdopodobny

W przypadku nieuwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio 613 tys. PLN i 2,6 mln PLN w 1. i 2. roku analizy.

W przypadku uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio [REDACTED] PLN w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 26

Tab. 26. Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa SC		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa SC		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Koszt analizowanych substancji [PLN]	0	0	59 680 456	157 812 994	59 680 456	157 812 994
Koszt podania leczenia [PLN]	0	0	731 891	1 935 340	731 891	1 935 340
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	0	0	54 170	152 351	54 170	152 351
SUMA [PLN]	0	0	60 466 518	159 900 685	60 466 518	159 900 685
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]					-612 955	-2 625 059
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						

SC – podskórny (ang. *subcutaneous*); IV – dożylny (ang. *intravenous*); RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*).

3.3 Wariant minimalny

W przypadku nieuwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą 47,9 mln PLN i 125,2 mln PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio 490 tys. PLN i 2,1 mln PLN w 1. i 2. roku analizy.

W przypadku uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 27

Tab. 27. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa SC		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	0	0	47 744 365	125 653 591	47 744 365	125 653 591
Koszt podania leczenia [PLN]	0	0	585 513	1 540 953	585 513	1 540 953
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	0	0	43 336	121 339	43 336	121 339
SUMA [PLN]	0	0	48 373 214	127 315 883	48 373 214	127 315 883
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SUMA [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SUMA [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	-490 364	-2 090 865
Z RSS						
Scenariusz istniejący						

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa SC		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						

SC – podskórny (ang. *subcutaneous*); IV – dożylny (ang. *intravenous*); RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*).

3.4 Wariant maksymalny

W przypadku nieuwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą 83,8 mln PLN i 219,4 mln PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio 858 tys. PLN i 3,7 mln PLN w 1. i 2. roku analizy.

W przypadku uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 28.

Tab. 28. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa SC		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	0	0	83 552 639	220 142 452	83 552 639	220 142 452
Koszt podania leczenia [PLN]	0	0	1 024 648	2 699 717	1 024 648	2 699 717
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	0	0	75 838	212 569	75 838	212 569
SUMA [PLN]	0	0	84 653 125	223 054 738	84 653 125	223 054 738
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]					-858 137	-3 662 840
Z RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]						
Koszt podania leczenia [PLN]						
Koszt monitorowania leczenia [PLN]						
SUMA [PLN]						

SC – podskórny (ang. *subcutaneous*); IV – dożylny (ang. *intravenous*); RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*).

3.5 Analiza wrażliwości

W ramach analizy wrażliwości testowano odsetki pacjentów przerywających leczenie oszacowane w oparciu o badania kliniczne.

W przypadku nieuwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą 48,3 mln PLN i 107,8 mln PLN odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio 459 tys. PLN i 1,8 mln PLN w 1. i 2. roku analizy.

W przypadku uwzględnienia RSS, całkowite koszty refundacji terapii (efgartigimod alfa SC + efgartigimod alfa IV) w populacji docelowej wyniosą [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy, w tym koszty refundacji wnioskowanej technologii wyniosą odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy. Pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o odpowiednio [REDACTED] w 1. i 2. roku analizy.

Szczegółowe wyniki przedstawiono w Tab. 29.

Tab. 29. Zestawienie wyników analizy wrażliwości.

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa S.C.		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Bez RSS						
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	0	0	48 099 744	108 122 055	48 099 744	108 122 055
Koszt podania leczenia [PLN]	0	0	589 871	1 325 955	589 871	1 325 955
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	0	0	42 795	102 616	42 795	102 616
SUMA [PLN]	0	0	48 732 410	109 550 626	48 732 410	109 550 626
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SUMA [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt podania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SUMA [PLN]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	-458 912	-1 750 546
Z RSS						

Kategoria kosztów	Efgartigimod alfa S.C.		Efgartigimod alfa IV		Razem	
	I rok	II rok	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt podania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
SUMA [PLN]	■	■	■	■	■	■
Scenariusz nowy						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt podania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
SUMA [PLN]	■	■	■	■	■	■
Zmiana kosztów vs scenariusz istniejący						
Koszt analizowanych substancji [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt podania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
Koszt monitorowania leczenia [PLN]	■	■	■	■	■	■
SUMA [PLN]	■	■	■	■	■	■

SC – podskórny (ang. *subcutaneous*); IV – dożylny (ang. *intravenous*); RSS – mechanizm dzielenia ryzyka (ang. *Risk Sharing Scheme*).

4 Ograniczenia i dyskusja

Celem analizy było oszacowanie wpływu na budżet płatnika publicznego, wydania pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce, stosowanego w leczeniu dorosłych pacjentów z uogólnioną postacią miastonii z obecnością przeciwciał przeciwko receptorowi dla acetylocholino (AChR-Ab+), stosujących standardową terapię zgodnie z zapisami programu lekowego B.157.

Analizę kosztów terapii lekiem Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (efgartigimod alfa SC) przeprowadzono na tle kosztów terapii preparatem Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji (efgartigimod alfa IV). Ze względu na wnioskowane warunki refundacji preparatu Vyvgart®, tj. refundacja w ramach programu lekowego odstąpiono od przeprowadzania analizy dopłat pacjentów.

Liczebność populacji docelowej oszacowano w oparciu o dwa źródła danych: dane uzyskane od NFZ dotyczące liczby pacjentów kwalifikowanych miesięcznie do terapii dożylnym efgartigimodem alfa od początku trwania programu lekowego B.157 (do oszacowania bazowej liczby nowych pacjentów w I roku analizy) oraz otwarte dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z rozpoznaniem miastonii (ICD-10: G70.0) leczonych efgartigimodem alfa (do oszacowania dynamiki wzrostu liczby pacjentów rok do roku).

W analizie uwzględniono koszty leków, koszty podania oraz koszty monitorowania leczenia. Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący (warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny i maksymalny), w którym oszacowano koszty leczenia pacjentów 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. Poszczególne warianty scenariusza istniejącego i nowego różnią się liczebnością populacji kwalifikującej się do leczenia analizowanymi substancjami.

w kategorii dostępności refundacyjnej: lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego, przy wysokości limitu finansowania na poziomie ceny hurtowej brutto (katalog B).

Poniżej, podsumowano wyniki uzyskane dla wariantu z uwzględnieniem RSS.

Dla wariantu **najbardziej prawdopodobnego**, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **minimalnego**, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Dla wariantu **maksymalnego**, pozytywna decyzja refundacyjna dla wnioskowanej technologii wiązać się będzie z obniżeniem wydatków refundacyjnych NFZ o [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

W zakresie ograniczeń analizy należy wymienić następujące kwestie:

- Liczebność populacji docelowej oszacowano na podstawie danych dotyczących liczby pacjentów aktualnie leczonych w ramach programu lekowego B.157. przy użyciu dożylniej formulacji preparatu Vyvgart®. Z uwagi na znaczne podobieństwa obu preparatów Vyvgart® (wnioskowanego efgartigimodu SC oraz aktualnie refundowanego efgartigimodu IV) w zakresie składu podstawowego, mechanizmu działania, skuteczności i profilu bezpieczeństwa, a także schematu podawania, przyjęto założenie, że wnioskowany efgartigimod SC będzie przejmował wyłącznie rynek terapeutyczny efgartigimodu IV.

Należy jednak podkreślić, że przyjęte założenie może nie w pełni odzwierciedlać rzeczywistą praktykę kliniczną. W warunkach rzeczywistych decyzje terapeutyczne podejmowane są indywidualnie, z uwzględnieniem stanu klinicznego pacjenta, profilu choroby, preferencji chorego oraz doświadczeń i preferencji lekarza prowadzącego. W konsekwencji możliwe jest, że część pacjentów kwalifikowanych do leczenia innymi technologiami refundowanymi w ramach programu lekowego B.157, w tym obecnie dostępnymi lub nowo wprowadzanymi terapiami, będzie ostatecznie kwalifikowana do leczenia efgartigimodem SC ze względu na jego właściwości kliniczne, sposób podawania, wygodę stosowania lub preferencje pacjenta.

Dodatkowym źródłem niepewności jest dynamiczny charakter rynku terapeutycznego w ramach programu lekowego B.157 - w toku aktualnego postępowania refundacyjnego do refundacji wszedł kolejny lek (Rystiggo®), a następny jest w trakcie negocjacji (Zilbrysq®). Oznacza to, że przyszła struktura rynku oraz rzeczywisty podział pacjentów pomiędzy dostępnymi terapiami są trudne do precyzyjnego przewidzenia. Na rzeczywiste udziały poszczególnych terapii wpływać będą również czynniki trudne do ilościowego oszacowania, takie jak intensywność działań marketingowych producentów konkurencyjnych terapii oraz preferencje lekarzy i pacjentów. Ponadto dla preparatu Rystiggo® (refundowany od 1 lipca 2026 r.) brak jest publicznie dostępnych informacji dotyczących rzeczywistego kosztu tego leku uwzględniającego instrument dzielenia ryzyka (RSS), co uniemożliwia wiarygodne modelowanie jego wpływu na przyszłą strukturę rynku bez konieczności przyjmowania arbitralnych założeń. Z tego względu w analizie nie modelowano szczegółowo przepływów pacjentów pomiędzy wszystkimi technologiami dostępnymi w ramach programu lekowego B.157. W rezultacie rzeczywista populacja stosująca Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce może być nieco szersza niż populacja obejmująca wyłącznie pacjentów stosujących aktualnie preparat Vyvgart® w postaci do infuzji dożylniej. Niepewność dotyczącą liczebności populacji docelowej analizowano w ramach wariantu minimalnego oraz maksymalnego.

- W analizie przyjęto założenie, że wnioskowana technologia (efgartigimod alfa SC) w ciągu roku przejmie 90% rynku, przy czym w 1. roku analizy zakładano liniowy wzrost udziału, osiągając 90% w ostatnim miesiącu tego okresu.

Należy jednak podkreślić, że istnieje istotna niepewność co do faktycznego tempa i zakresu przejścia rynku przez wnioskowaną technologię. Na chwilę obecną brak jest danych empirycznych lub przykładów innych leków refundowanych w leczeniu uogólnionej postaci miastenii, które mogłyby stanowić punkt odniesienia i umożliwić walidację tego typu założeń.

Pewnych wskazówek dostarczają jednak doświadczenia z innych obszarów terapeutycznych, zwłaszcza w przypadku leków biologicznych stosowanych w chorobach autoimmunologicznych (np. adalimumab, infliksymab, rytuksymab). W tych przypadkach wprowadzenie podskórnej postaci produktu leczniczego zazwyczaj prowadziło do szybkiego przesunięcia pacjentów z terapii dożylnych na podskórne, przy zachowaniu całkowitego wolumenu rynku. Przykładem jest rytuksymab w postaci podskórnej (MabThera SC), którego zastosowanie w leczeniu chłoniaka nieziarnicznego i reumatoidalnego zapalenia stawów skutkowało znaczną zmianą preferencji zarówno wśród lekarzy, jak i pacjentów. Dane wskazują, że pacjenci preferują postać podskórną głównie ze względu na krótszy czas podania oraz możliwość samodzielnego stosowania w warunkach domowych. W konsekwencji, wprowadzenie postaci SC doprowadziło do szybkiego i trwałego zwiększenia jej udziału w rynku, bez zmniejszenia ogólnego wolumenu sprzedaży leku [Jang 2021].

- Niepewność dotycząca odsetka pacjentów przerywających leczenie. W ramach niniejszej analizy odsetek pacjentów przerywających leczenie oszacowano na podstawie danych uzyskanych od NFZ, zgodnie z którymi 1 pacjent na 34 włączonych do programu lekowego przerwał leczenie efgartigimodem alfa IV po pierwszym cyklu terapii z powodu braku skuteczności, a żaden pacjent nie przerwał leczenia z powodu działań niepożądanych, toksyczności ani nadwrażliwości na lek. Informacja ta nie jest w pełni zgodna z zapisami programu lekowego, w którym pierwsza ocena odpowiedzi na leczenie odbywa się po drugim cyklu - dopiero wtedy możliwe jest formalne zakończenie terapii w przypadku braku skuteczności. W modelu uzyskany na podstawie danych NFZ odsetek wykorzystano jako przybliżenie prawdopodobieństwa przerwania leczenia podczas każdej oceny skuteczności dla efgartigimodu alfa (SC i IV). Założenie to stanowi uproszczenie, które może prowadzić do przeszacowania lub niedoszacowania rzeczywistego odsetka pacjentów przerywających terapię. W celu oceny wpływu tego założenia na wyniki modelu w analizie wrażliwości wykorzystano dane oszacowane w oparciu o badania kliniczne.

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

Nie zidentyfikowano istotnych negatywnych konsekwencji prawnych ani etycznych związanych z objęciem refundacją preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce. Refundacja tej technologii może natomiast wiązać się z korzystnym wpływem organizacyjnym i społecznym, wynikającym z odmiennej drogi podania względem aktualnie refundowanej postaci dożylniej.

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, wszystkie cztery podania leku w pierwszym cyklu oraz pierwsze podanie w drugim cyklu muszą być wykonane lub nadzorowane przez pracownika ochrony zdrowia, natomiast kolejne dawki mogą być podawane samodzielnie przez pacjenta lub jego opiekuna w warunkach domowych, po odpowiednim przeszkoleniu. Oznacza to możliwość częściowego przeniesienia procesu leczenia z ośrodka realizującego program lekowy do domu pacjenta, co może zwiększać dostępność terapii i ograniczać obciążenie organizacyjne związane z koniecznością regularnych wizyt w placówce medycznej.

Istotną przewagą praktyczną postaci podskórnej jest również krótki czas podania. Wstrzyknięcie podskórne trwa około 20-30 sekund, podczas gdy postać dożylna wymaga podania w ramach hospitalizacji lub hospitalizacji jednodniowej związanej z realizacją programu lekowego. Może to przekładać się na mniejsze wykorzystanie zasobów świadczeniodawcy, w tym czasu personelu i infrastruktury niezbędnej do podań dożylnych, a także większą elastyczność planowania świadczeń.

Z perspektywy społecznej refundacja postaci podskórnej może poprawiać komfort i wygodę leczenia pacjentów z gMG, szczególnie w przewlekłej terapii. Ograniczenie liczby wizyt związanych z podaniem leku może zmniejszać obciążenie pacjenta i jego opiekunów, w tym czas poświęcany na dojazdy i organizację leczenia. Dodatkowo postać podskórna może sprzyjać większej autonomii pacjenta i lepszemu dopasowaniu terapii do codziennego funkcjonowania.

Wpływ organizacyjny znalazł odzwierciedlenie również w założeniach kosztowych analizy. W modelu przyjęto, że początkowe podania postaci podskórnej realizowane są ambulatoryjnie, a dalsze dawki mogą być podawane samodzielnie przez pacjenta lub opiekuna, bez generowania dodatkowych kosztów podania. W przeciwieństwie do tego, podanie efgartigimodu alfa w postaci dożylniej wymaga realizacji świadczeń szpitalnych lub jednodniowych. Wskazuje to, że refundacja postaci podskórnej może prowadzić do bardziej efektywnego wykorzystania zasobów systemu ochrony zdrowia.

W konsekwencji objęcie refundacją efgartigimodu alfa w postaci podskórnej może przynieść korzyści organizacyjne i społeczne, związane z uproszczeniem procesu leczenia, odciążeniem ośrodków realizujących program lekowy, zwiększeniem elastyczności udzielania świadczeń oraz poprawą wygody terapii dla pacjentów wymagających długotrwałego leczenia.

6 Wnioski

Analiza wykazała, że pozytywna decyzja refundacyjna dla preparatu Vyvgart® (efgartigimod alfa) w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce będzie wiązać się z obniżeniem wydatków refundacyjnych o [REDACTED] odpowiednio w 1. i 2. roku analizy.

Spis tabel

Tab. 1. Zestawienie wyników analizy – zmiana kosztów vs scenariusz istniejący.	6
Tab. 2. Liczebność populacji obejmującej pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana w leczeniu miastonii.	9
Tab. 3. Liczebność populacji obejmującej pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana w leczeniu CIDP.	10
Tab. 4. Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.	10
Tab. 5. Zestawienie danych źródłowych NFZ wykorzystanych do oszacowania miesięcznej liczby pacjentów kwalifikowanych do terapii efgartigimodem alfa.	11
Tab. 6. Założenia dotyczące miesięcznej liczby nowo włączanych pacjentów do terapii efgartigimodem alfa.	11
.....	12
.....	13
.....	13
Tab. 10. Liczebność populacji docelowej wskazanej we wniosku.	14
Tab. 11. Liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją.	15
Tab. 12. Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	16
Tab. 13. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (bez RSS).	20
Tab. 14. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci roztworu do wstrzykiwań w ampułkostrzykawce (z RSS).	21
Tab. 15. Koszt preparatu Vyvgart® w postaci koncentratu do sporządzenia roztworu do infuzji.	21
Tab. 16. Liczba zużytych fiolek w oparciu o masę ciała pacjenta.	22
Tab. 17. Rozkład masy ciała pacjentów wykorzystany do wyznaczenia dawkowania efgartigimodu alfa IV.	23
Tab. 18. Koszt podania efgartigimodu alfa IV.	24
Tab. 19. Koszt podania efgartigimodu alfa SC.	24
Tab. 20. Założenia dotyczące sposobu podawania efgartigimodu alfa SC, uwzględnione w analizie.	25
Tab. 21. Koszt monitorowania leczenia.	26
Tab. 22. Zestawienie założeń wariantów scenariusza istniejącego.....	27

Tab. 23. Zestawienie założeń wariantów scenariusza nowego.	27
Tab. 24. Prawdopodobieństwo przerwania leczenia na podstawie danych od NFZ i badań klinicznych.	28
Tab. 25. Aktualne roczne wydatki NFZ na leczenie pacjentów w ramach programu lekowego B.157.	30
Tab. 26. Zestawienie wyników analizy dla wariantu najbardziej prawdopodobnego.	31
Tab. 27. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego.	33
Tab. 28. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego.	35
Tab. 29. Zestawienie wyników analizy wrażliwości.	36

Bibliografia

- AE Vyvgart** Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu miastonii. Analiza ekonomiczna. Warszawa, 2026.
- ADAPT-SC** Howard JF Jr, Vu T, Li G, Korobko D, Smilowski M, Liu L, Gistelinc F, Steeland S, Noukens J, Van Hoorick B, Podhorna J, Borgions F, Li Y, Utsugisawa K, Wiendl H, De Bleecker JL, Mantegazza R; ADAPT-SC and ADAPT-SC+ Study Groups. Subcutaneous efgartigimod PH20 in generalized myasthenia gravis: A phase 3 randomized noninferiority study (ADAPT-SC) and interim analyses of a long-term open-label extension study (ADAPT-SC+). *Neurotherapeutics*. 2024 Sep;21(5):e00378.
- AEK Vyvgart** Vyvgart® (efgartigimod alfa) w leczeniu miastonii. Analiza efektywności klinicznej. Warszawa, 2026.
- AOTMiT 2025** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Raport w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej (nr WT.543.4.2025), 24.06.2025. Dostęp online: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/091/REK/Raport%20WT.543.4.2025.pdf, dostęp: 26.09.2025.
- Broers 2019** Broers MC, Bunschoten C, Nieboer D, Lingsma HF, Jacobs BC. Incidence and Prevalence of Chronic Inflammatory Demyelinating Polyradiculoneuropathy: A Systematic Review and Meta-Analysis. *Neuroepidemiology*. 2019;52(3-4):161-172.
- CHAMPION MG** Vu T, Meisel A, Mantegazza R, Annane D, Katsuno M, Aguzzi R, Enayetallah A, Beasley KN, Rampal N, Howard JF. Terminal Complement Inhibitor Ravulizumab in Generalized Myasthenia Gravis. *NEJM Evid*. 2022 May;1(5):EVIDoa2100066.
- Chiò 2007** Chiò A, Cocito D, Bottacchi E, Buffa C, Leone M, Plano F, Mutani R, Calvo A; PARCIPD. Idiopathic chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy: an epidemiological study in Italy. *J Neurol Neurosurg Psychiatry*. 2007 Dec;78(12):1349-53.
- ChPL Vyvgart** Charakterystyka Produktu Leczniczego Vyvgart®. Dostęp online: https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/vyvgart-epar-product-information_pl.pdf, dostęp: 06.03.2026.
- Dresser 2021** Dresser L, Wlodarski R, Rezania K, Soliven B. Myasthenia Gravis: Epidemiology, Pathophysiology and Clinical Manifestations. *J Clin Med*. 2021 May 21;10(11):2235.
- GUS 2024** Rocznik Demograficzny 2025, Dostęp online: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2025,3,19.html>, dostęp: 05.03.2026.
- IkarPro Ultomiris** Dane IkarPro Ultomiris, ceny realne. Dostęp online: https://ikarpro.pl/pl/baza/#/drugProgrammes/pricesReal?group_id=ceny&id=crel&locale=pl&method=show&tryb%5B%5D=nazwa&obw_id_arg=79&szukane%5B%5D=Ultomiris&, dostęp: 13.07.2026.
- Jang 2021** Jang M, Simoens S, Kwon T. Budget Impact Analysis of the Introduction of Rituximab and Trastuzumab Intravenous Biosimilars to EU-5 Markets. *BioDrugs*. 2021 Jan;35(1):89-101.
- Komunikat DGL** Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do kwietnia 2026 r., Dostęp online:

	https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8965.html , dostęp: 13.07.2026.
Lazaridis 2020	Lazaridis K, Tzartos SJ. Myasthenia Gravis: Autoantibody Specificities and Their Role in MG Management. <i>Front Neurol.</i> 2020 Nov 30;11:596981.
MycarinG FDA	Raport FDA, w którym raportowano średnią masę ciała uczestników badania MycarinG. Dostęp online: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2023/761286Orig1s000IntegratedR.pdf , dostęp: 6.07.2026.
NFZ 2025	Dane dostarczone przez Narodowy Fundusz Zdrowia.
Obwieszczenie MZ	Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 lipca 2026 r. Dostęp online: https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-17-czerwca-2026-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywnieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-lipca-2026-r , dostęp: 1.07.2026.
Otwarte dane	Otwarte dane - Liczba pacjentów z danym rozpoznaniem ICD10, u których zastosowano lek o danym kodzie EAN. Dostęp online: https://dane.gov.pl/pl/dataset/4897 , dostęp: 14.07.2026.
Rozporządzenie MZ 2023	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.
Sobieszcuk 2021	Sobieszcuk E, Napiórkowski Ł, Szczudlik P, Kostera-Pruszczyk A. Myasthenia Gravis in Poland: National Healthcare Database Epidemiological Study. <i>Neuroepidemiology.</i> 2021 Feb 19:1-8.
Ustawa refundacyjna 2011	Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 Nr 122 poz. 696) po uwzględnieniu nowelizacji z dnia 17.08.2023).