



Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA



Kraków, lipiec 2026

LISTA OSÓB ZAANGAŻOWANYCH W OPRACOWANIE ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

Analizę wpływu na budżet opracowało (nazwa firmy, dane kontaktowe)	Centrum HTA Sp. z o.o. Os. Mozarta 1/29, 31 - 232 Kraków e-mail: centrumhta@centrumhta.com telefon: 0 607 345 792	
Autorzy analizy wpływu na budżet	Imię i nazwisko	Wkład pracy
Analiza wpływu na budżet została wykonana na zlecenie i sfinansowana przez (nazwa firmy, dane kontaktowe)	ER-KİM İLAÇ SANAYİ VE TİCARET ANONİM ŞİRKETİ at Akat Mah. Ebulula Mardin Cad. Maya Meridien İş Mer. No:16/25 Beşiktaş/İstanbul Turcja	
Konflikt interesów	Autorzy nie zgłosili konfliktu interesów innych niż wynikających z prowadzonej działalności Centrum HTA	

SPIS TREŚCI

INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU	4
STRESZCZENIE	5
1. CEL ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA	9
2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	9
2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA	11
2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY	15
2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY	16
2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY	18
2.5. CHARAKTERYSTYKA I LICZEBNOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI	20
2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE	23
2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU	23
2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM	32
2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	33
3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	37
3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO	37
3.2. WARIANT PRAWDOPODOBNY, MINIMALNY I MAKSYMALNY	37
3.3. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI	41
4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW	45
5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE	46
6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH	46
7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE	46
8. OGRANICZENIA ANALIZY	48
9. DYSKUSJA	48
10. WNIOSKI KOŃCOWE	50
11. BIBLIOGRAFIA	51
12. SPIS TABEL	55
13. SPIS RYSUNKÓW	56
14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY	57

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



INDEKS AKRONIMÓW WYKORZYSTYWANYCH W OPRACOWANIU

Akronim / skrót	Interpretacja (pełna nazwa)
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
BIA	ang. <i>Budget Impact Analysis</i> ; Analiza wpływu na budżet
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CI	ang. <i>Confidence Interval</i> ; Przedział ufności
CPRD	ang. <i>Clinical Practice Research Datalink</i> ; Baza danych z praktyki klinicznej w UK
DSA	ang. <i>Deterministic Sensitivity Analysis</i> ; Deterministyczna analiza wrażliwości (tu: jedno- i wielokierunkowa analiza wrażliwości i analiza scenariuszowa)
EMA	ang. <i>European Medicines Agency</i> Europejska Agencja Leków
HypoPT	ang. <i>Hypoparathyroidism</i> ; Niedoczynność przytarczyc
LCI	ang. <i>Lower Confidence Interval</i> ; Dolna granica przedziału ufności
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
Perspektywa płatnika publicznego	Perspektywa płatnika publicznego, tj. podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych ze środków publicznych (Narodowego Funduszu Zdrowia i Ministra Zdrowia)
Perspektywa wspólna	Perspektywa płatnika publicznego i świadczeniobiorcy (perspektywa płatnika za świadczenia medyczne)
PICO	ang. <i>Population, Intervention, Comparison, Outcome</i> ; Populacja, interwencja, porównanie, wynik
PTH	ang. <i>Parathyroid hormone</i> ; Parathormon
RSS	ang. <i>Risk Sharing Scheme</i> ; Porozumienie podziału ryzyka
UCI	ang. <i>Upper Confidence Interval</i> ; Górna granica przedziału ufności

STRESZCZENIE

CEL ANALIZY

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, w ramach programu lekowego.

METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *Population, Intervention, Comparison, Outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik [osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet]) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili dorośli pacjenci z niedoczynnością przytarczyc (ang. *Hypoparathyroidism*; HypoPT), u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem do stosowania wnioskowanej technologii [57] oraz kształtem proponowanego programu lekowego [37];
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd, 2 peny w opakowaniu) w dawce zgodnej z Charakterystyką produktu leczniczego [57], dodawanej do terapii konwencjonalnej (I);
- wnioskowaną technologię porównano z brakiem leczenia przyczynowego (brakiem hormonalnej terapii zastępczej) uwzględniającym stosowanie samej terapii konwencjonalnej polegającej na podawaniu węglanu wapnia i aktywnej pochodnej witaminy D (C);
- opierając się na wynikach Analizy klinicznej [41] w opracowaniu uwzględniono różnice między wnioskowaną technologią a komparatorem w zakresie: prawdopodobieństwa odpowiedzi na leczenie, ryzyka występowania zdarzeń niepożądanych (hipokalcemii i hiperkalcemii) oraz związanej z odpowiedzią na leczenie poprawą kliniczną stanu chorego obejmującą: zmniejszenie ryzyka występowania powikłań przewlekłej nadczynności przytarczyc, zmniejszenie ryzyka zgonu, poprawę jakości życia oraz zmniejszenie zużycia zasobów opieki zdrowotnej i leczenia konwencjonalnego. W niniejszej analizie uwzględniono jedynie konsekwencje kosztowe różnicy w efektywności klinicznej porównywanych interwencji określone na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej [96] (O);
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: liczebności populacji pacjentów, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 Rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 2 lata realizacji proponowanego programu lekowego, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii („*status quo*”, „scenariusz istniejący”; brak finansowania palopegteryparatydu ze środków publicznych w ramach proponowanego programu lekowego) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz” zakładający realizację programu lekowego dla wnioskowanej technologii; por. rozdział 2.4.).

Wnioskowana technologia nie jest finansowana ze środków publicznych [37]. Przy braku refundowanej alternatywy pacjenci w chwili obecnej stosują przede wszystkim samo leczenie konwencjonalne (doustny węglan wapnia + aktywną pochodną witaminy D: alfacalcidol lub kalcytriol), które nie zapewnia pełnej kontroli choroby. Tym samym w ramach scenariusza istniejącego

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



uwzględniono kontynuację leczenia konwencjonalnego, które w badanej populacji chorych nie zapewnia pełnej kontroli choroby (stanowi suboptymalne leczenie).

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach:

- wariant bez RSS, uwzględniający cenę wnioskowanej technologii sugerowaną do wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz
- wariant z RSS, [REDACTED]

W opracowaniu założono refundację wnioskowanej technologii w ramach nowej grupy limitowej ze względu na brak odpowiednika refundowanego w analizowanym wskazaniu, brak refundowanej opcji terapeutycznej w Polsce oraz udowodnioną przewagę kliniczną palopegteryparatydu nad leczeniem konwencjonalnym dostępnym w Polsce (na podstawie wyników badania PaTHway [71]). Na tej podstawie uznano, że refundacja w osobnej grupie limitowej jest zgodna z zapisami art. 15 ust. 2 i 3 ustawy o refundacji [30].

Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie jako lek stosowany w programie lekowym.

W opracowaniu uwzględniono koszt wnioskowanej technologii skalkulowany przy uwzględnieniu proponowanych cen zbytu netto oraz zapisów ustawy o refundacji [30].

Koszt pozostałych produktów leczniczych określono na podstawie średnich cen leków nierefundowanych (węglan wapnia, alfacalcidol) [38]. Koszt powikłań HypoPT określono na podstawie dostępnych źródeł danych dotyczących kosztu w warunkach polskich – uwzględniono zarówno wyniki badań kosztów choroby, założenia opublikowanych analiz ekonomicznych jak i również algorytm przypisania kosztu świadczenia medycznego na podstawie zakresu wykonanych świadczeń opieki medycznej (np. przypisanie kosztu JGP dla wykonania zabiegu w danej grupie chorych).

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie czasowym 2 lat mając na uwadze: moment wystąpienia stabilizacji liczby pacjentów leczonych wnioskowaną technologią w przypadku jej refundacji (po 1. roku refundacji liczba pacjentów w proponowanym programie lekowym nie zmienia się co cykl o więcej niż $\pm 5\%$) oraz 2-letni okres obowiązywania decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii [30].

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny liczebności populacji docelowej: wariant „najbardziej prawdopodobny”, wariant „minimalny” i wariant „maksymalny”. Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na liczebność populacji docelowej zarówno w ramach scenariusza istniejącego, jak i scenariusza nowego.

Przeprowadzono wielokierunkową ocenę liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku refundacyjnym. Przy ocenie liczebności populacji docelowej uwzględniono:

- oszacowania analityków AOTMiT [52] w zakresie liczby pacjentów kwalifikujących się do stosowania palopegteryparatydu w warunkach polskich (chorobowość: 75 chorych, zakres: od 50 do 100 chorych; zapadalność: 8 chorych, zakres: od 5 do 10 chorych). W obliczeniach uwzględniono zarówno wskaźniki epidemiologiczne choroby jak i niepublikowane dane uzyskane od NFZ [52];

- [REDACTED]

Konserwatywnie, w analizie podstawowej liczebność populacji chorych włączanych do programu lekowego w 2. roku refundacji określono na podstawie [REDACTED]

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego badań klinicznych [41].

Na podstawie wyników Analizy klinicznej [41] w opracowaniu uwzględniono różnice w skuteczności klinicznej porównywanych interwencji.

W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet przy ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego wykorzystano założenia, wartości parametrów wejściowych i wyniki modelu decyzyjnego szczegółowo opisanego na etapie Analizy ekonomicznej [96].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych jest zgodna z Wytycznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

WYNIKI I WNIOSKI

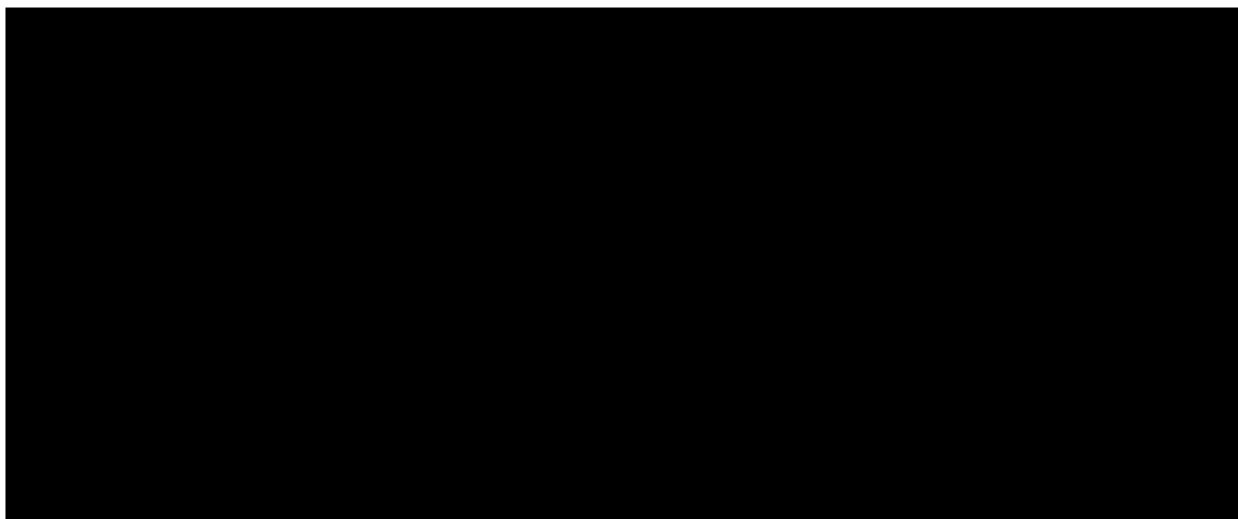
Wyniki przeprowadzonej analizy wpływu na budżet wskazują, że podjęcie pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, w ramach programu lekowego będzie związane ze wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonych na finansowanie świadczeń medycznych wśród pacjentów z analizowanej populacji. Dodatkowe nakłady finansowe związane z podjęciem refundacji wnioskowanej technologii wynikają z napływu dodatkowych pacjentów do refundacji (tj. objęciem refundacją leczenia pacjentów, którzy aktualnie stosują nierefundowane i niewystarczające do uzyskania kontroli choroby leczenie konwencjonalne).

Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych będzie związane z inkrementalną zmianą całkowitych wydatków płatnika publicznego na świadczenia medyczne gwarantowane pacjentom z analizowanej populacji, wynoszącą:

- w wariantcie bez RSS:
 - 18 817 167 PLN [REDACTED]
[REDACTED] w 1. roku;
 - 41 609 116 PLN [REDACTED]
[REDACTED] w 2. roku;
- w wariantcie z RSS:
 - [REDACTED]
[REDACTED] w 1. roku;
 - [REDACTED]
[REDACTED] w 2. roku.

Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Pozostałe założenia modelowania oraz zakres niepewności parametrów wykorzystywanych w modelowaniu na etapie Analizy ekonomicznej [96] nie miały wpływu na wyniki (zmiana w zakresie nieprzekraczającym [REDAKTED])

Produkt leczniczy Yorvipath® (palopegteryparatyd) jest pierwszą i jedyną terapią zarejestrowaną bezpośrednio w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Dostępne dowody naukowe potwierdzają skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa stosowania palopegteryparatydu w tym wskazaniu [41].

Wnioskowana technologia ma status leku sierocznego w leczeniu pacjentów z niedoczynnością przytarczyc.

Analiza ekonomiczna [96] wykazała, że stosowanie leku Yorvipath® będzie związane z inkrementalnym współczynnikiem kosztów-żyteczności przekraczającym przyjęty próg opłacalności (244 821 PLN za dodatkowy rok życia skorygowany o jakość), co jest zjawiskiem często obserwowanym w przypadku leków sierocnych stosowanych w chorobach rzadkich.

Co więcej, Plan dla Chorób Rzadkich wprowadzony przez Radę Ministrów (Uchwała nr 110 Rady Ministrów z dnia 24 sierpnia 2021 r. M.P. 2021 poz. 883) zakłada modyfikację oceny ekonomicznej leków sierocnych polegającą m.in. na wprowadzeniu odmiennego, wyższego progu opłacalności dla takich technologii medycznych.

Udostępnienie pacjentom z analizowanej populacji jedynej opcji terapeutycznej z potwierdzoną skutecznością (wnioskowana technologia) będzie stanowić odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca.

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania palopegteryparatydu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiąganych wyników zdrowotnych. Od 2. roku refundacji wzrost wydatków z budżetu płatnika publicznego wynosił będzie średnio około [REDAKTED] rocznie (wariant z RSS).

Przedstawiona kwota dodatkowych nakładów finansowych płatnika publicznego w wariantcie z RSS ([REDAKTED]) stanowi [REDAKTED] całkowitego rocznego budżetu na refundację w 2026 roku i [REDAKTED] niewykorzystanych środków finansowych z budżetu przeznaczonego na refundację leków w 2026 roku (obliczono na podstawie stopnia wykonania budżetu w okresie styczeń – maj 2026 roku zgodnie z komunikatem DEF NFZ opublikowanym 01.07.2026 roku).

Refundacja wnioskowanej interwencji umożliwi dostęp pacjentom i lekarzom w Polsce do skutecznej, łatwo dostępnej i dogodnej w stosowaniu terapii niekontrolowanej niedoczynności przytarczyc.

1. CEL ANALIZY WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, w ramach programu lekowego.

2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

Zgodnie z wymogami Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) sprecyzowano kontekst niniejszego etapu oceny technologii medycznych. Schemat PICO (ang. *Population, Intervention, Comparison, Outcome*; populacja, interwencja, porównanie, wynik – osobno: efekt zdrowotny określony na podstawie badań klinicznych i punkt końcowy analizy wpływu na budżet) [1] niniejszej analizy przedstawia się następująco:

- populację stanowili dorośli pacjenci z niedoczynnością przytarczyc (ang. *Hypoparathyroidism*; HypoPT), u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem do stosowania wnioskowanej technologii [57] oraz kształtem proponowanego programu lekowego [37];
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd, 2 peny w opakowaniu) w dawce zgodnej z Charakterystyką produktu leczniczego [57], dodawanej do terapii konwencjonalnej (I);
- wnioskowaną technologię porównano z brakiem leczenia przyczynowego (brakiem hormonalnej terapii zastępczej) uwzględniającym stosowanie samej terapii konwencjonalnej polegającej na podawaniu węglanu wapnia i aktywnej pochodnej witaminy D (C);
- opierając się na wynikach Analizy klinicznej [41] w opracowaniu uwzględniono różnice między wnioskowaną technologią a komparatorem w zakresie: prawdopodobieństwa odpowiedzi na leczenie, ryzyka występowania zdarzeń niepożądanych (hipokalcemii i hiperkalcemii) oraz związanej z odpowiedzią na leczenie poprawą kliniczną stanu chorego obejmującą: zmniejszenie ryzyka występowania powikłań przewlekłej nadczynności przytarczyc, zmniejszenie ryzyka zgonu, poprawę jakości życia oraz zmniejszenie zużycia zasobów opieki zdrowotnej i leczenia konwencjonalnego. W niniejszej analizie uwzględniono jedynie konsekwencje kosztowe różnicy w efektywności klinicznej porównywanych interwencji określone na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej [96] (O);
- wyniki niniejszej analizy wpływu na budżet zaprezentowano w ujęciu wszystkich pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku pod postacią: liczebności populacji pacjentów, o której mowa

w §6 ust. 1 i 2 Rozporządzenia [3], aktualnych wydatków na leczenie pacjentów z analizowanej populacji oraz prognozowanych wydatków na 2 lata realizacji proponowanego programu lekowego, zgodnie z zapisami Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] (por. rozdział 2.4.).

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii („*status quo*”, „scenariusz istniejący”; brak finansowania palopegteryparatydu ze środków publicznych w ramach proponowanego programu lekowego) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz” zakładający realizację programu lekowego dla wnioskowanej technologii; por. rozdział 2.4.).

Analizę przeprowadzono w dwóch wariantach:

- wariant bez RSS, uwzględniający sugerowaną do Wykazu cenę wnioskowanej technologii oraz
- wariant z RSS, [REDACTED]

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny zakresu wpływu refundacji ocenianego produktu na budżet płatnika publicznego i liczebności populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny, wariant minimalny i wariant maksymalny. Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na liczebność populacji docelowej i sumaryczne zużycie zasobów medycznych zarówno w ramach scenariusza istniejącego, jak i scenariusza nowego.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych przygotowanego przez Centrum HTA Sp. z o.o. [41].

Przy ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego, w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet, wykorzystano wartości parametrów, założenia i wyniki modelu decyzyjnego, szczegółowo opisanego na etapie Analizy ekonomicznej [96].

W niniejszej analizie wykorzystano ogólnie akceptowalne metody biostatystyczne i epidemiologiczne [1]-[29], [35].

Przeprowadzona analiza wpływu na system ochrony zdrowia decyzji dotyczącej finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych jest zgodna z Wytycznymi AOTMiT dla przeprowadzania ocen technologii lekowych [1] oraz spełnia minimalne wymagania Ministra Zdrowia przedstawione w rozporządzeniu [3].

2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA

ER-KIM Pharmaceuticals Poland wnioskuję o objęcie refundacją produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w ramach części B Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych („Leki dostępne w ramach programu lekowego”) umożliwiając jego stosowanie w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca [40].

Wnioskowana technologia zarejestrowana jest wyłącznie do stosowania we wnioskowanym wskazaniu [57] i nie jest obecnie finansowana ze środków publicznych w Polsce [37].

Zgodnie z art. 15 ust. 2 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [30] do wspólnej grupy limitowej kwalifikuje się lek posiadający tę samą nazwę międzynarodową i zbliżony mechanizm działania, przy zastosowaniu następujących kryteriów: tych samych wskazań lub przeznaczeń, w których są refundowane, podobnej skuteczności.

Zapisy art. 15 ust. 2 i 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych odnoszą się do porównania nazwy międzynarodowej, mechanizmu działania, drogi podawania, postaci farmaceutycznej i zbieżności wskazań pomiędzy wnioskowaną technologią a technologią obecną w danej grupie, do której rozważane jest wpisanie wnioskowanej technologii.

W opracowaniu założono refundację wnioskowanej technologii w ramach nowej grupy limitowej ze względu na brak odpowiednika refundowanego w analizowanym wskazaniu, brak refundowanej opcji terapeutycznej w Polsce oraz udowodnioną przewagę kliniczną produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) nad interwencjami dostępnymi w Polsce (samym leczeniem konwencjonalnym – badanie PaTHway [71]). Na tej podstawie uznano, że refundacja w osobnej grupie limitowej jest zgodna z zapisami art. 15 ust. 2 i 3 ustawy o refundacji [30].

Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie jako lek stosowany w programie lekowym.

Wnioskowana technologia ma status leku sierociego w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Zgodnie ze specyfikacją wnioskowanego produktu leczniczego [57] oraz sposobem rozliczania substancji czynnej w ramach programów lekowych w analizie uwzględniono rozliczanie z NFZ pełnych opakowań leku. Przyjęto, że NFZ będzie finansował ze środków publicznych każde wydane opakowanie wnioskowanej technologii.

Podstawowe informacje na temat wnioskowanej technologii i proponowanego sposobu jej finansowania ze środków publicznych przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 1. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.

Aspekt	Wartość
Wnioskowana technologia	
Nazwa handlowa	Yorvipath®
Substancja czynna	<i>Palopegteriparatidum</i>
Kod ATC	H05AA05 [33]
Data pozwolenia dopuszczenia do obrotu	17 listopada 2023 (EU/1/23/1766)
Postać farmaceutyczna	Roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu
Zawartość opakowania	2 wstrzykiwacze półautomatyczne (peny) z możliwością podawania 3 predefiniowanych dawek: • 6 µg, 9 µg i 12 µg, lub • 15 µg, 18 µg i 21 µg, lub • 24 µg, 27 µg i 30 µg.
DDD / PDD	Brak [33]
Kategoria dostępności leku	Rpz
Sugerowany sposób finansowania	
Kategoria dostępności refundacyjnej	Lek, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowany w ramach programu lekowego (art. 6 ust 1 pkt 2 ustawy [30])
Grupa limitowa	Nowa grupa limitowa
Poziom odpłatności świadczeniobiorcy	Bezpłatny (art. 14 ustawy [30])
Proponowane ceny zbytu netto	
Proponowany RSS	

PDD, ang. *Prescribed Daily Dosis* – najczęściej stosowana dawka dobową [30]

Dawkowanie wnioskowanej technologii określono na podstawie: wyników badania PaTHway oraz zarejestrowanego schematu dawkowania [57].

Każdy wstrzykiwacz można stosować przez maksymalnie 14 dni, wejściowa dawka na podstawie to 18 µg, z możliwością zmiany o 3 µg na tydzień i dozwoloną dawką na podanie zakresie od 6 do 60 µg [57].

Przedstawione informacje wskazują, że dawki ≥ 36 µg wymagają stosowania dwóch wstrzykiwaczy jednocześnie.



Mając powyższe na uwadze w analizie uwzględniono wykorzystanie każdego wstrzykiwacza przez okres 14 dni (maksymalny okres, z potencjalnym uwzględnieniem kosztu niewykorzystanej części wstrzykiwacza przy stosowaniu dawki niższej niż maksymalnej predefiniowanej dla danego wstrzykiwacza), uwzględniono stosowanie leku przez [REDACTED] okresu leczenia (wg danych z badania PaTHway) z odsetkiem pacjentów stosujących podwójne wstrzykiwania na dobę określoną na podstawie danych z badania PaTHway.

W badaniu PaTHway odsetek pacjentów stosujących podwójne wstrzykiwania na dobę (2 wstrzykiwacze jednocześnie) rósł w miarę wzrostu okresu leczenia, od około 2% w 26. tygodniu leczenia do 21% w 156. tygodniu leczenia, zgodnie ze wskazaniami pacjentów (w badaniu lekarz nie zbierał danych na temat dawki leku; dostępne dane pochodzą wyłącznie od pacjentów)

W analizie podstawowej przyjęto jednakże, że po 26 tygodniu leczenia (około pół roku) pacjent włączony do proponowanego programu lekowego będzie miał już ustaloną dawkę. Założenie to wynika z faktu, iż dane z badania eksperymentalnego mogą nie odzwierciedlać rzeczywistej praktyki uwzględniającej zmodyfikowane (na podstawie wyników badania) wytyczne dla pacjenta w zakresie stosowania leku i wynikające z większego doświadczenia środowiska lekarskiego związanego z wykorzystaniem wnioskowanej technologii.

Pozostałe dane uwzględniono w analizie wrażliwości. Struktura modelu umożliwiała uwzględnienie podwójnego dawkowania, na podstawie danych dotyczących dawkowania z fazy przedłużonej badania PaTHway do 156. tygodnia. Obserwowany odsetek pacjentów otrzymujących palopepteryparaty, którzy wymagali dwóch penów na podanie w celu osiągnięcia wymaganej dawki został dopasowany do poszczególnych 28-dniowych cykli modelu przy zastosowaniu podejścia „ostatnia obserwacja przeniesiona naprzód”, co oznacza, że przyjęcie danych ze 156-tygodniowej obserwacji wiąże się z założeniem miareczkowania dawki przez ten okres.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



W badaniu PaTHway średni czas do osiągnięcia stabilnej dawki leku oszacowano na poziomie około [REDACTED] (mediana [REDACTED] N=130), co oznacza że okres miareczkowania nie dłuższy niż 6 miesięcy jest bardziej zasadny.

[REDACTED]

W analizie przyjęto stosowanie wnioskowanej technologii u wszystkich pacjentów odnoszących korzyści z leczenia (zgodnie z wieloaspektowym podejściem do rozpatrywanego problemu decyzyjnego; por. rozdziały 2.4. i 3.5.1. Analizy ekonomicznej [96]) do momentu dyskontynuacji leczenia z każdej przyczyny (zgodnie z ryzykiem określonym na podstawie danych z badania PaTHway, [REDACTED] na cykl 28-dniowy; por. rozdział 3.5.2. Analizy ekonomicznej [96]).

W analizie przyjęto, że wnioskowana technologia będzie dodawana do leczenia konwencjonalnego.

[REDACTED]

W analizie uwzględniono takie same leczenie konwencjonalne w obydwu grupach, przy czym w ramieniu wnioskowanej technologii uwzględniono niższą dawkę węglanu wapnia (284 mg/d vs 1847 mg/d) i taką samą dawkę pochodnej witaminy D (alfacalcidol: 0,618 µg/d; kalcytriol w połowie dawki raportowanej dla alfacalcidolu), co było zgodne z wynikami badania PaTHway.

W grupie wnioskowanej technologii przyjęto przewlekłe stosowanie leczenia konwencjonalnego, do wystąpienia zgonu pacjenta. Jedynie w sytuacji dyskontynuacji leczenia wnioskowaną technologią i przejścia do stanu związanego z brakiem kontroli choroby przyjęto modyfikację leczenia konwencjonalnego polegającą na zwiększeniu dawki węglanu wapnia, do poziomu obserwowanego w grupie chorych niestosujących wnioskowanej technologii.

W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet uwzględniono średnie niezdyskontowane zużycie wnioskowanej technologii na cykl 28-dniowy w przeliczeniu na pacjenta rozpoczynającego leczenie w pierwszym roku, określone na podstawie modelu analizy ekonomicznej [96] w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia leczenia (por. arkusz „BIA_calc” modelu). Wszystkie wyniki analizy ekonomicznej [96] uwzględnione w BIA przedstawiono w rozdziale 2.7.

Szczegółowe informacje na temat wnioskowanej technologii zamieszczono w Analizie problemu decyzyjnego [40].

2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY

Analizowany problem decyzyjny dotyczył objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny dla produktu leczniczego Yorvipath® w ramach części B „*Leki stosowane w ramach programów lekowych*” Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych [40] (por. rozdział 2.1.).

Proponowany sposób refundacji nie uwzględnia współpłacenia świadczeniobiorcy [30].

Co więcej, w ramach analizy ekonomicznej dla rozważanego problemu decyzyjnego [96] nie zidentyfikowano kategorii kosztu z perspektywy świadczeniodawcy, które istotnie wpływałyby na koszt leczenia analizowanych pacjentów oraz różnice w tym koszcie pomiędzy analizowanymi interwencjami.

Mając powyższe na uwadze, zgodnie z Wytycznymi dla przeprowadzania ocen technologii medycznych, opublikowanymi przez AOTMiT [1], niniejsza analiza wpływu na budżet została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych; Narodowego Funduszu Zdrowia; NFZ oraz Ministerstwo Zdrowia). W analizie wrażliwości uwzględniono perspektywę wspólną NFZ i pacjentów (uwzględniono koszt pełnopłatnych leków oraz dopłatę pacjenta do cen leków refundowanych).

2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY

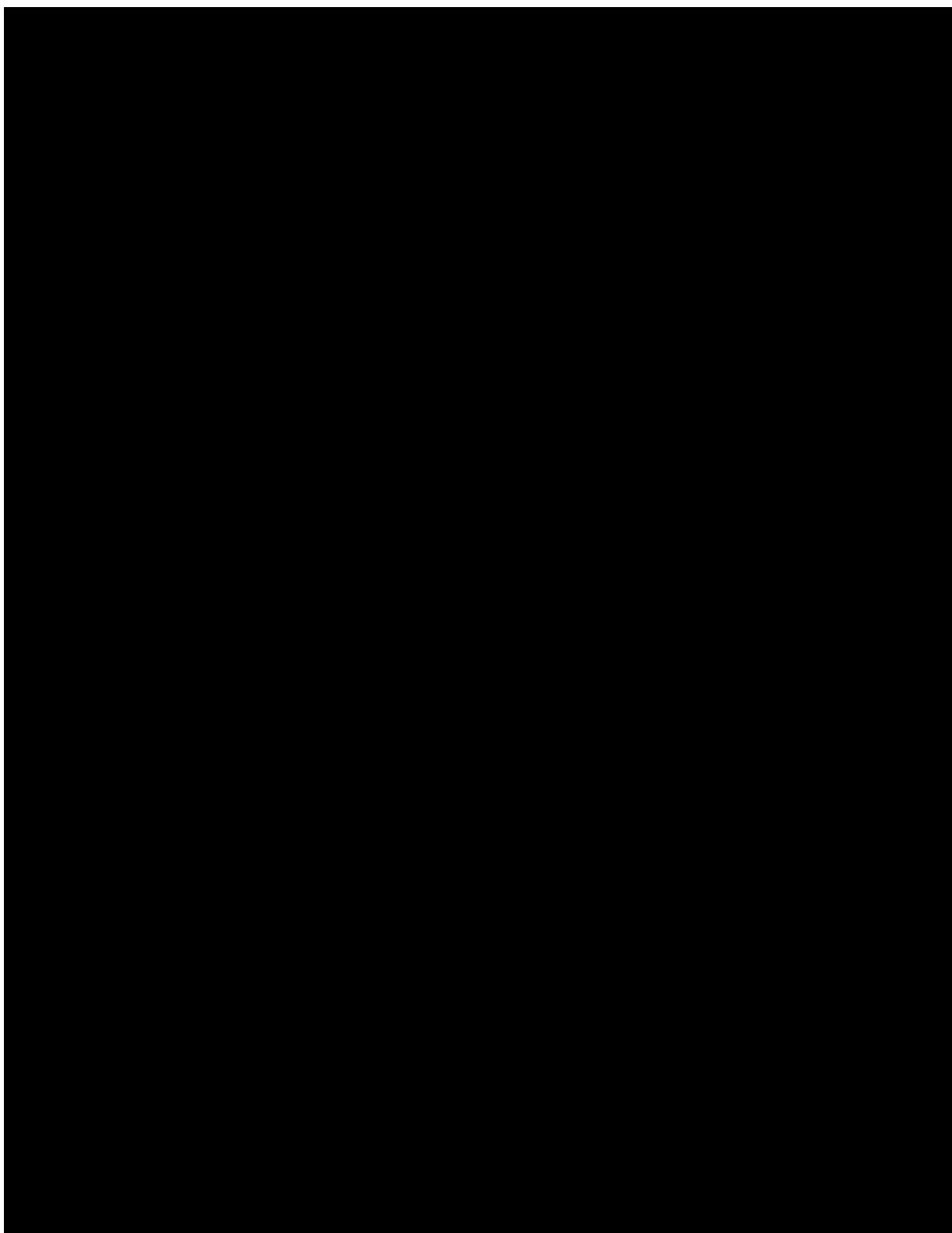
W analizie wpływu na budżet dokonuje się oceny wpływu danej technologii medycznej na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej w czasie kilku lat następujących po podjęciu decyzji o finansowaniu ze środków publicznych nowej technologii, zazwyczaj do ustalenia się równowagi na rynku lub co najmniej w ciągu pierwszych 2 lat od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1].

Punkt początkowy niniejszej analizy obejmuje pierwszy rok, w którym będzie możliwe stosowanie refundowanego produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) we wnioskowanym wskazaniu w ramach scenariusza nowego (przy założeniu pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia dotyczącej objęcia refundacją wnioskowanej technologii w ramach programu lekowego).

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w horyzoncie czasowym 2 lat mając na uwadze:

- moment wystąpienia stabilizacji liczby pacjentów leczonych wnioskowaną technologią w przypadku jej refundacji;
- 2-letni okres obowiązywania decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii [30].

Poniżej przedstawiono wyniki oceny liczebności populacji docelowej – liczbę pacjentów leczonych w proponowanym programie lekowym w każdym kolejnym cyklu 28-dniowym w horyzoncie 2 lat od inicjalizacji programu.



[Redacted text block]

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Ustalono, że po 1. roku refundacji liczba pacjentów w proponowanym programie lekowym nie zmienia się co cykl o więcej niż [REDACTED]

Zasadność przyjęcia okresu 2 lat potwierdzają informacje w art. 11. ust. 3 pkt. 3 Ustawy o refundacji [30] świadczące, iż pozytywne rozpatrzenie wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny wnioskowanego produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) stosowanego w analizowanym wskazaniu będzie obowiązywać przez okres 2 lat po wydaniu decyzji refundacyjnej Ministra Zdrowia.

Na tej podstawie ustalono, że 2-letni horyzont czasowy zapewnia uchwycenie wszystkich aspektów związanych z równowagą na analizowanym rynku sprzedaży leków stosowanych we wnioskowanym wskazaniu.

Na podstawie przedstawionych powyżej aspektów, w ramach analizy wpływu na budżet refundacji produktu leczniczego Yorvipath® we wnioskowanym wskazaniu przeprowadzono symulację wysokości nakładów finansowych z jednorocznego budżetu płatnika publicznego. Przeprowadzono ocenę konsekwencji finansowych dla kolejnych lat obserwacji w odniesieniu do porównywanych ze sobą możliwych scenariuszy („nowy scenariusz” vs „scenariusz istniejący”) w okresie 2 pierwszych lat obowiązywania pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia, przy corocznej ocenie wydatków z budżetu płatnika publicznego.

2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń medycznych) ponoszone w ramach opieki nad pacjentami z analizowanej populacji w przypadku braku działań mających na celu rozszerzenie dostępu do wnioskowanej technologii („*status quo*”, „scenariusz istniejący”; brak finansowania palopegteryparatydu ze środków publicznych w ramach proponowanego programu lekowego) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz” zakładający realizację programu lekowego dla wnioskowanej technologii).

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono w ujęciu wszystkich pacjentów, którzy mogą korzystać z wnioskowanej technologii w danym roku w Polsce (por. rozdział 2.5.1.). Uwzględniono wszystkie różniące koszty bezpośrednie medyczne w okresie podawania porównywanych technologii oraz po jego zakończeniu (od włączenia do analizy do końca horyzontu czasowego BIA lub zgonu, jeżeli wystąpi wcześniej). Tym samym w obliczeniach pominięto pacjentów, którzy nawet pomimo spełnienia kryteriów włączenia do proponowanego programu nie będą do niego kwalifikowani, jak i pacjentów, którzy w

wyniku pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii nie będą zmieniać sposobu leczenia między scenariuszami (wydatki z budżetu płatnika publicznego na opiekę medyczną tych grup pacjentów będą takie same zarówno w scenariuszu istniejącym, jak i nowym scenariuszu).

Wnioskowana technologia nie jest finansowana ze środków publicznych [37]. Przy braku refundowanej alternatywy pacjenci w chwili obecnej stosują przede wszystkim samo leczenie konwencjonalne (doustny węglan wapnia + aktywną pochodną witaminy D: alfacalcidol lub kalcytriol), które nie zapewnia pełnej kontroli choroby. Tym samym w ramach scenariusza istniejącego uwzględniono kontynuację leczenia konwencjonalnego, które w badanej populacji chorych nie zapewnia pełnej kontroli choroby (stanowi suboptymalne leczenie).

W analizie przyjęto 100% docelowe wykorzystanie wnioskowanej technologii w programie lekowym.

Zgodnie z założeniami Analizy ekonomicznej [96] w opracowaniu uwzględniono możliwość wystąpienia różnicy między stosowaniem wnioskowanej technologii a komparatorem w zakresie efektów zdrowotnych. W opracowaniu uwzględniono konsekwencje kosztowe efektywności porównywanych interwencji. Uwzględniono wyniki modeli Analizy ekonomicznej [96] pod postacią kosztu lub zużycia zasobu medycznego, będącego konsekwencją różnicy w skuteczności porównywanych interwencji.

W ramach niniejszej analizy wpływu na system ochrony zdrowia przedstawiono:

- liczebność populacji, o której mowa w §6 ust. 1 i 2 rozporządzenia [3] (por. rozdział 2.5.);
- ilościową prognozę 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, zgodnie z §6 ust. 4 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „scenariusz istniejący”, „*status quo*”);
- ilościową prognozę 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, zgodnie z §6 ust. 5 rozporządzenia [3] (prognoza opisana jako „nowy scenariusz”);
- oszacowanie różnicy między ww. prognozami, zgodnie z §6 ust. 6 rozporządzenia [3];

- zgodnie z §6 ust. 7 rozporządzenia [3], przedstawiono również prognozy i różnice w ich wartościach dla dwóch skrajnych scenariuszy wielkości populacji docelowej (warianty opisane jako minimalny i maksymalny).

W ramach niniejszej analizy podjęto również próbę oszacowania 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, zgodnie z §6 ust. 3 rozporządzenia [3].

2.5. CHARAKTERYSTYKA I LICZEBNOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI

2.5.1. CHARAKTERYSTYKA ANALIZOWANEJ POPULACJI

Zarejestrowane wskazanie do stosowania produktu leczniczego Yorvipath® obejmuje leczenie dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca [57].

Wnioskowane wskazanie pokrywa się w pełni z zarejestrowanym wskazaniem, przy czym w programie lekowym zaproponowano szczegółowe kryteria włączenia do leczenia wnioskowaną technologią.

Analizę przeprowadzono z uwzględnieniem dostępnych danych klinicznych z badania klinicznego PaTHway [71] zidentyfikowanego w ramach przeglądu systematycznego [41].

W opracowaniu uwzględniono charakterystyki i wyniki zdrowotne pacjentów zgodne z założeniami i wynikami modelu ekonomicznego Wnioskodawcy. Uwzględniono przede wszystkim dane dotyczące uczestników badania PaTHway.

Mając na uwadze międzynarodowy i/lub wielośrodkowy charakter ww. badania można uznać, że dane z tego badania odzwierciedlają charakter docelowej populacji dla wnioskowanej technologii w Polsce.

Charakterystyki pacjentów wpływające na wyniki analizy przedstawiono poniżej.

Tabela 2. Charakterystyki wejściowe pacjentów z analizowanej populacji.

	Wartość	Źródło
Wiek pacjenta, lata	48,56 (SE 1,3958)	PaTHway
% mężczyzn	22% (18/82, SE= 0,045)	PaTHway

W pierwszej kolejności oceniono rozpowszechnienie stanu klinicznego wskazanego we wniosku każdego roku (liczbę pacjentów mogących rozpocząć leczenie z wykorzystaniem wnioskowanej technologii każdego roku) i następnie określono wydatki z budżetu płatnika publicznego przy uwzględnieniu danych wejściowych i wyników modeli Analizy ekonomicznej [96].

Wykorzystano wyniki modeli Analizy ekonomicznej [96] pod postacią zużycia zasobów lub kosztu na cykl przypadającego na pacjenta, rozpoczynającego leczenie z wykorzystaniem porównywanych interwencji.

2.5.2. LICZEBNOŚĆ POPULACJI

W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny liczebności populacji docelowej: wariant najbardziej prawdopodobny, wariant minimalny i wariant maksymalny.

Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na liczebność populacji docelowej zarówno w ramach scenariusza istniejącego, jak i scenariusza nowego.

Przeprowadzono modelowanie populacyjne pozwalające określić liczebność populacji pacjentów leczonych w programie w kolejnych latach z podziałem na stosowane interwencje.

W pierwszej kolejności ustalono liczbę pacjentów spełniających kryteria włączenia do leczenia z wykorzystaniem wnioskowanej technologii każdego roku.

2.5.2.1. LICZEBNOŚĆ POPULACJI PACJENTÓW, U KTÓRYCH WNIOSKOWANA TECHNOLOGIA MOŻE BYĆ STOSOWANA LUB JEST AKTUALNIE STOSOWANA (§ 6 UST. 1 PKT. 1 ROZPORZĄDZENIA [3])

W ramach niniejszej analizy uwzględniono pacjentów w stanie klinicznym zgodnym z wnioskowanym wskazaniem oraz zarejestrowanym wskazaniem do stosowania leku Yorvipath® [57].

2.5.2.1.1. POPULACJA OBEJMUJĄCA WSZYSTKICH PACJENTÓW, U KTÓRYCH WNIOSKOWANA TECHNOLOGIA MOŻE BYĆ ZASTOSOWANA (§ 6 UST. 1 PKT. 1 LIT. A ROZPORZĄDZENIA [3])

Mając na uwadze brak opcjonalnych źródeł dotyczących liczby chorych w stanie klinicznym wskazanym we Wniosku, w ramach niniejszego opracowania uwzględniono wyniki oszacowania analityków AOTMiT [52] w zakresie liczby pacjentów kwalifikujących się do stosowania palopegteryparatydu w warunkach polskich (chorobowość: 75 chorych, zakres: od 50 do 100 chorych; zapadalność: 8 chorych, zakres: od

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



5 do 10 chorych). AOTMiT uwzględnił zarówno dostępne wskaźniki epidemiologiczne choroby jak i niepublikowane dane uzyskane od NFZ [52].

[REDACTED]

[REDACTED]

2.5.2.1.2. POPULACJA DOCELOWA WSKAZANA WE WNIOSKU (§ 6 UST. 1 PKT. 1 LIT. B ROZPORZĄDZENIA [3])

Wnioskowane wskazanie zgodne jest z zarejestrowanym wskazaniem. Tym samym liczba pacjentów, u których możliwe byłoby rozpoczęcie leczenia palopegteryparatydem wynosi (scenariusz istniejący):

[REDACTED]

2.5.2.1.3. LICZEBNOŚĆ POPULACJI, W KTÓREJ WNIOSKOWANA TECHNOLOGIA JEST OBECNIE STOSOWANA (§ 6 UST. 1 PKT. 1 LIT. C ROZPORZĄDZENIA [3])

Wnioskowana technologia nie jest finansowana ze środków publicznych [37]. Ze względu na stosunkowo wysoki koszt dla pacjenta oraz konieczność przewlekłego stosowania, przy braku refundacji zdecydowana większość pacjentów nie będzie mogła stosować pełnopłatnego leku.

Tym samym w analizie przyjęto, że liczebność populacji chorych, którzy mogą stosować wnioskowaną technologię w ramach RDTL w horyzoncie czasowym analizy wynosi 0 pacjentów rocznie (§ 6 ust. 1 pkt. 1 lit. c rozporządzenia [3]).

2.5.2.2. LICZEBNOŚĆ POPULACJI, W KTÓREJ WNIOSKOWANA TECHNOLOGIA BĘDZIE STOSOWANA PRZY ZAŁOŻENIU, ŻE MINISTER WŁAŚCIWY DO SPRAW ZDROWIA WYDA DECYZJĘ O OBJĘCIU REFUNDACJĄ (§ 6 UST. 1 PKT 2 ROZPORZĄDZENIA [3])

Nie są dostępne dane pozwalające określić jaki udział będzie miała wnioskowana technologia po objęciu jej refundacją.

Tym samym w opracowaniu uwzględniono wykorzystanie wnioskowanej technologii w przypadku refundacji u wszystkich zdiagnozowanych pacjentów – stopień wykorzystania ustalono na poziomie 100% (lek sierocy, brak alternatywy, brak pełnej kontroli choroby przy jedynym dostępnym dla pacjenta w Polsce leczeniu konwencjonalnym).

2.5.2.3. PODSUMOWANIE INFORMACJI NA TEMAT LICZEBNOŚCI POPULACJI

Podsumowanie informacji na temat liczebności rocznej populacji pacjentów uwzględnionej w ramach analizy podstawowej przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 3. Podsumowanie liczebności całkowitej populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.

Populacja wg [3]	Rok 1.	Rok 2.
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a		
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. b		
art. 6 ust. 1 pkt. lit. c (populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana)		
art. 6 ust. 1 pkt 2 (w proponowanym programie lekowym)		

2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono szczegółowej analizy wpływu na skutki zdrowotne. Niemniej jednak, w opracowaniu uwzględniono konsekwencje kosztowe wyższej skuteczności klinicznej wnioskowanej technologii w porównaniu do komparatorów.

2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU

W ramach niniejszego opracowania uwzględniono zasoby zużywane w trakcie leczenia pacjentów z analizowanej populacji w warunkach polskich.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Zasoby uwzględnione w analizie związane są przede wszystkim z kosztami z perspektywy płatnika publicznego; uwzględniono wyłącznie koszty bezpośrednie medyczne.

Dane kosztowe zebrano w styczniu 2026 roku i zaktualizowano pod koniec lipca 2026 roku.

W opracowaniu uwzględniono analogiczne założenia i dane wejściowe dla kosztów, jak w przypadku Analizy ekonomicznej [96]. Informacje na temat sugerowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych przedstawiono w rozdziale 2.1. niniejszego opracowania.

Na podstawie wyników modeli analizy ekonomicznej [96] określono średnie koszty i zużycie zasobów w zależności od czasu jaki upłynął od rozpoczęcia stosowania porównywanych opcji (tabela poniżej).

Uwzględniono zarówno wyniki analizy podstawowej, jak i każdego scenariusza analizy wrażliwości (szczegóły rozdziale 2.9.).

Tabela 4. Koszty i zużycie zasobów medycznych na cykl 28-dniowy w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia stosowania porównywanych interwencji w przeliczeniu na 1 standardowego pacjenta rozpoczynającego leczenie. Wyniki modelowania [96].

Cykl	% leczonych Yorvipath®	Opakowania Yorvipath®	Koszt podawania i monitorowania		Pozostałe koszty	
			Yorvipath®	kontrola	Yorvipath®	kontrola
1						
2						
3						
4						
5						
6						
7						
8						
9						
10						
11						
12						
13						
14						
15						
16						
17						
18						
19						
20						
21						
22						
23						
24						

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Cykl	% leczonych Yorvipath®	Opakowania Yorvipath®	Koszt podawania i monitorowania		Pozostałe koszty	
			Yorvipath®	kontrola	Yorvipath®	kontrola
25						
26						

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Koszt pozostałych produktów leczniczych określono na podstawie średnich cen leków nierefundowanych (węglan wapnia, alfacalcidol) [38]. Koszt powikłań HypoPT określono na podstawie dostępnych źródeł danych dotyczących kosztu w warunkach polskich – uwzględniono zarówno wyniki badań kosztów choroby, założenia opublikowanych analiz ekonomicznych jak i również algorytm przypisania kosztu świadczenia medycznego na podstawie zakresu wykonanych świadczeń opieki medycznej (np. przypisanie kosztu JGP dla wykonania zabiegu w danej grupie chorych).

Szczegóły przedstawiono w Analizie ekonomicznej [96]. Parametry wykorzystane w Analizie ekonomicznej przedstawiono poniżej.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 5. Parametry i założenia modelu Analizy ekonomicznej [96].

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)		Źródło
Cena wnioskowanej technologii	[redacted] Osobna grupa limitowa; bezpłatne dla pacjenta		Wnioskodawca
Zużycie wnioskowanej technologii	28 dni na opakowanie (14 dni stosowania 1 pena); brak dodatkowego <i>wastage</i> przy zmianie penów [redacted] dnia leczenia Dawkowanie wg ChPL		ChPL [57], PaTHway
Leczenie konwencjonalne	[redacted]		Założenia modelu oryginalnego na podstawie danych z badania PaTHway
Charakterystyka pacjentów	Wiek pacjenta, lata	48,56 (SE 1,3958)	PaTHway [71],
	% mężczyzn	22% (18/82, SE= 0,045)	
Dodatkowy efekt wnioskowanej technologii	prawdopodobieństwo odpowiedzi na leczenie; ryzyko występowania zdarzeń niepożądanych (hipokalcemii i hiperkalcemii); związana z odpowiedzią na leczenie poprawa kliniczna stanu chorego obejmująca: zmniejszenie ryzyka występowania powikłań przewlekłej nadczynności przytarczyc, zmniejszenie ryzyka zgonu, poprawę jakości życia oraz zmniejszenie zużycia zasobów opieki zdrowotnej i leczenia konwencjonalnego		Założenia, PaTHway [71], Analiza kliniczna [41], założenia modelu oryginalnego na podstawie wyników analizy CPRD
Prawdopodobieństwo odpowiedzi	Wnioskowana technologia: [redacted] (po 3 cyklach „NAC” → „AC”) Komparator: [redacted]		Założenia, PaTHway [71]
Ryzyko dyskontynuacji	[redacted] na cykl (utrata efektu od razu po zakończeniu leczenia)		Założenia, PaTHway [71]
Ryzyko powikłań	Bazowe ryzyko powikłań (osoby z populacji generalnej UK dopasowane do pacjentów z analizowanej populacji):		Założenia modelu oryginalnego na podstawie

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)								Źródło	
		18-29	29-39	39-49	49-59	59-69	69-79	79+	wyników analizy CPRD	
	Powikłania neurologiczne (napad drgawkowy)									
	Zaćma									
	Choroba sercowo-naczyniowa									
	Przewlekła choroba nerek									
	Zaburzenia zdrowia psychicznego									
	Złamanie kości									
	Zakażenie układu moczowego									
	Infekcja górnych dróg oddechowych									
	Infekcja dolnych dróg oddechowych									
	Kamica nerkowa (nephrolithiasis)									
	Nefrokalcynoza									
	Wpływ kontroli choroby na bazowe ryzyko powikłań (HR):									
		„AC”					„NAC”			
	Powikłania neurologiczne (napad drgawkowy)									
	Zaćma									
	Choroba sercowo-naczyniowa									
	Przewlekła choroba nerek									
	Zaburzenia zdrowia psychicznego									
	Złamanie kości									
	Zakażenie układu moczowego									
	Infekcja górnych dróg oddechowych									
	Infekcja dolnych dróg oddechowych									
	Kamica nerkowa (nephrolithiasis)									
Nefrokalcynoza*										

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)		Źródło						
Zdarzenia niepożądane	Wskaźniki występowania hiperkalcemia i hipokalcemia w cyklu i kontrolnej, odpowiednio: [REDACTED] w grupie badanej oraz [REDACTED] w grupie kontrolnej		Założenia modelu oryginalnego, PaTHway [71]						
Ryzyko zgonu	Dane dotyczące osób z populacji generalnej Polski skorygowane o zależny od stanu HR występowania zgonu; HR dla stanu „NAC” i „AC” odpowiednio [REDACTED]		Tablice trwania życia Polaka w 2025 r. [46]; założenia modelu oryginalnego na podstawie wyników analizy CPRD						
Koszt monitorowania i wydawania wnioskowanej technologii	[REDACTED] w trakcie dostosowania dawki leku (do 26. tygodnia) oraz [REDACTED] po dostosowaniu dawki		Założenia, program lekowy, [59], [60], [61], [62], [63]						
Koszt monitorowania i wydawania leczenia konwencjonalnego	138,00 PLN/cykl		Założenia, [59]						
Koszt leków	Leczenie konwencjonalne: węglanu wapnia 0 PLN za 1 mg; alfacalcidolu 0 PLN za 0,25 µg; kalcytriol: 0,18 PLN za 0,125 µg 11,48 PLN/cykl		Założenia, [37], [38], [49], Założenia modelu oryginalnego, PaTHway [71]						
Koszt opieki standardowej	Zużycie zasobów wg danych z UK; koszty jednostkowe z Polski [REDACTED]		Założenia modelu oryginalnego na podstawie wyników analizy CPRD, założenia, [59], [62]						
Koszt opieki końca życia i powikłań	<table><tr><th>Stan / zdarzenie</th><th>Koszt na cykl lub zdarzenie (2026)</th></tr><tr><td>Koszt opieki końca życia</td><td>19 916,08 PLN</td></tr><tr><td>Powikłania neurologiczne (napady drgawkowe)</td><td>480,63 PLN</td></tr></table>		Stan / zdarzenie	Koszt na cykl lub zdarzenie (2026)	Koszt opieki końca życia	19 916,08 PLN	Powikłania neurologiczne (napady drgawkowe)	480,63 PLN	Założenia, [56], [58], [62], [65], [66], [67], [68], [69], [70]
Stan / zdarzenie	Koszt na cykl lub zdarzenie (2026)								
Koszt opieki końca życia	19 916,08 PLN								
Powikłania neurologiczne (napady drgawkowe)	480,63 PLN								

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)		Źródło
	Zaćma	3 908,64 PLN	
	Choroby sercowo-naczyniowe: wybrane	6 144,21 PLN	
	Przewlekła choroba nerek: wybrane	1 432,58 PLN	
	Zaburzenia zdrowia psychicznego	19 974,55 PLN	
	Złamanie kości	7 991,89 PLN	
	Zakażenie układu moczowego	80,96 PLN	
	Zakażenie górnych dróg oddechowych	138,00 PLN	
	Zakażenie dolnych dróg oddechowych, w tym zapalenie płuc	138,00 PLN	
	Kamica nerkowa	2 097,12 PLN	
	Nefrokalcynoza	1 432,58 PLN	
Koszt leczenia zdarzeń niepożądanych	JGP K25 (6 130,20 PLN).		Założenia, [62]

Opierając się na Wytycznych przeprowadzania ocen technologii medycznych [1], w ramach niniejszej analizy wpływu na budżet nie uwzględniono dyskontowania.

2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM

Zastosowana w niniejszej analizie metoda estymacji wyników w ujęciu populacyjnym uwzględnia obserwację liczby pacjentów włączanych do modelu w danym momencie horyzontu czasowego do końca danego roku lub wystąpienia zgonu. Pozwala określić sumaryczne zużycie danych zasobów lub sumaryczne koszty w ujęciu populacyjnym na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej [96], wyrażonych jako koszt lub zużycie danego zasobu medycznego na cykl w przeliczeniu na pacjenta rozpoczynającego leczenie.

W uproszczeniu, suma iloczynów liczby pacjentów włączanych do obserwacji w danym cyklu oraz zużycia danego zasobu medycznego w okresie od włączenia do zakończenia danego roku i jego kosztu jednostkowego pozwala określić całkowite wydatki wśród pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku w danym roku.

W pierwszej kolejności oceniono liczbę pacjentów mogących rozpoczynać leczenie z wykorzystaniem porównywanych interwencji każdego cyklu każdego roku należącego do horyzontu czasowego analizy, a następnie określono wydatki z budżetu płatnika publicznego przy uwzględnieniu wyników modelu Analizy ekonomicznej [96].

Wykorzystano wyniki modelu analizy ekonomicznej [96] pod postacią zużycia zasobów lub kosztu w danym cyklu z pierwszych dwóch lat obserwacji przypadających na pacjenta rozpoczynającego leczenie z wykorzystaniem porównywanych interwencji (dane niezdyskontowane, uwzględniające zdarzenia wykluczające z leczenia – parametr dla każdego z 13 cykli 28-dniowych modelu analizy ekonomicznej [96] oznaczono jako $Z_k = Z_1, Z_2, \dots, Z_{13}$).

Następnie dysponując informacjami na temat liczby pacjentów rozpoczynających leczenie wnioskowaną technologią każdego cyklu w roku należącym do horyzontu czasowego analizy wpływu na budżet (2 lata = 26 cykli; $P_i = P_1, P_2, \dots, P_{26}$) określono sumaryczny koszt/zużycie zasobu wśród wszystkich chorych zgodnie z algorytmem:

- w roku 1. wśród pacjentów rozpoczynających leczenie w 1. roku.:

$$\sum_{i=1}^{13} \left(P_i \times \sum_{k=1}^{13-i} Z_k \right)$$

- w roku 2. wśród pacjentów rozpoczynających leczenie w 1. roku.:

$$\sum_{i=1}^{13} \left(P_i \times \sum_{k=13-i+1}^{26-i} Z_k \right)$$

- w roku 2. wśród pacjentów rozpoczynających leczenie w 2. roku.:

$$\sum_{i=14}^{26} \left(P_i \times \sum_{k=1}^{26-i+1} Z_k \right)$$

Gdzie: i oznacza numer cyklu horyzontu czasowego analizy wpływu na budżet (cykl = 1/13 roku), a k – numer cyklu modelu analizy ekonomicznej [96].

Każdy pacjent włączany do analizy wpływu na budżet generował koszt określony na podstawie modelu analizy ekonomicznej [96] od momentu włączenia do analizy wpływu na budżet (pierwszego cyklu modelu analizy ekonomicznej [96], tj. $k = 1$) do końca horyzontu czasowego obserwacji analizy wpływu na budżet (tj. odpowiadającemu cyklowi analizy ekonomicznej: $k = 26 - \text{nr cyklu włączenia do BIA} + 1$).

Szczegóły przedstawiono w arkuszach „Population” i „BIA_calc” modelu.

2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

W ramach analizy podstawowej uwzględniono trzy warianty:

- „prawdopodobny”, uwzględniający realistyczne wartości parametrów dotyczących liczebności analizowanej populacji i wpływu refundacji wnioskowanej technologii na budżet płatnika publicznego;
- „minimalny”, uwzględniający skrajne założenia i wartości z zakresu niepewności parametrów dotyczących liczebności analizowanej populacji, generujące minimalne wydatki z budżetu;
- „maksymalny”, uwzględniający skrajne założenia i wartości zakresu niepewności parametrów dotyczących liczebności analizowanej populacji, generujące maksymalne wydatki z budżetu.

Parametry poszczególnych wariantów zostały przedstawione w tabeli poniżej (szczegóły dotyczące parametrów oceny wielkości populacji zostały przedstawiono w rozdziale 2.5.).

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 6. Charakterystyka wariantów liczebności populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.

	Wariant prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny
Liczba kwalifikująca się do leczenia w 1. roku			
Liczba kwalifikująca się do leczenia w 2. roku			
% wykorzystania wnioskowanej technologii	100%		

Bezpośrednie dane wejściowe z zakresu kosztów i zużycia zasobów medycznych (m.in. długości stosowania leków, średnie koszty) zostały szczegółowo opisane w Analizie ekonomicznej [96] – wszystkie dane wejściowe modelu z wyłączeniem wag użyteczności stanowią również parametry niniejszej analizy wpływu na budżet.

W ramach analizy wrażliwości rozpatrywano scenariusze opisane w tabeli poniżej.

Tabela 7. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.

Nr	Scenariusz analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 00	Analiza podstawowa		prawdopodobny
SA 01			minimalny
SA 02			maksymalny
SA 03	Liczba pacjentów w 2. roku na podstawie obliczeń AOTMIT [52]		prawdopodobny
SA 04			minimalny
SA 05			maksymalny
SA 06	Konservatywny scenariusz zużycia Yorvipath: maksymalny % stosowania podwójnych penów, uwzględniony koszt niewykorzystanej części penu, RDI=100%		prawdopodobny
SA 07			minimalny
SA 08			maksymalny
SA 09	Brak modelowania komplikacji		prawdopodobny
SA 10	Brak kosztów leczenia (w tym Yorvipath)		prawdopodobny
SA 11	Brak kosztów podawania i monitorowania		prawdopodobny
SA 12	Brak kosztów opieki standardowej		prawdopodobny
SA 13	Brak zdarzeń niepożądanych		prawdopodobny
SA 14	Brak kosztu końca życia		prawdopodobny
SA 15	Wiek i % mężczyzn: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 16		Górna granica	prawdopodobny
SA 17	Brak korekty połowy cyklu		prawdopodobny
SA 18	Opcjonalne warianty oceny prawdopodobieństwa w grupie	Wariant założeń analizy NICE odzwierciedlający proponowany program lekowy	prawdopodobny
SA 19		Badanie PaTHway: pierwszorzędowy punkt końcowy (niewystarczająca kontrola)	prawdopodobny
SA 20		Badanie PaTHway: prawidłowe stężenie wapnia w surowicy (niewystarczająca kontrola)	prawdopodobny
SA 21		Badanie PaTHway: niezależność od witaminy D (niewystarczająca kontrola)	prawdopodobny
SA 22		Badanie PaTHway: niezależność od Ca (niewystarczająca kontrola)	prawdopodobny
SA 23		Badanie PaTHway: pierwszorzędowy punkt końcowy (cała populacja badania)	prawdopodobny

Nr	Scenariusz analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 24	Prawdopodobieństwo odpowiedzi: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 25		Górna granica	prawdopodobny
SA 26	Liczba cykli do uzyskania odpowiedzi: 0 do 6	0	prawdopodobny
SA 27		2	prawdopodobny
SA 28		4	prawdopodobny
SA 29		6	prawdopodobny
SA 30	Roczne ryzyko dyskontynuacji: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 31		Górna granica	prawdopodobny
SA 32	Opóźnione zanikanie efektu u kończących leczenie: 0 do 6 cykli	0	prawdopodobny
SA 33		2	prawdopodobny
SA 34		3	prawdopodobny
SA 35		6	prawdopodobny
SA 36	Koszt komplikacji: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 37		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 38	Względne ryzyko komplikacji w stanach: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 39		Górna granica	prawdopodobny
SA 40	Opcjonalne warianty oceny bazowego ryzyka komplikacji	wariant 1	prawdopodobny
SA 41		wariant 2	prawdopodobny
SA 42	Bazowe ryzyko komplikacji w stanach: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 43		Górna granica	prawdopodobny
SA 44	Koszt dodatkowych leków i suplementów: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 45		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 46	RDI dla wnioskowanej technologii: 95% CI	91,3%	prawdopodobny
SA 47		99,3%	prawdopodobny
SA 48	Koszt podawania i monitorowania: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 49		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 50	% wymagających stosowania dwóch penów: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 51		Górna granica	prawdopodobny
SA 52	Koszt opieki końca życia: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 53		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 54	Liczba tygodni do ustalenia dawki: 0 - 156 (% z 2 penami)	26	prawdopodobny
SA 55		52	prawdopodobny
SA 56		104	prawdopodobny
SA 57		156	prawdopodobny
SA 58		pominięto	prawdopodobny
SA 59	Uwzględniony koszt niewykorzystanej części pena		prawdopodobny
SA 60	Perspektywa płatnika publicznego		prawdopodobny
SA 61	Perspektywa wspólna (płatnika publicznego i pacjentów)		prawdopodobny
SA 62	Opieka standardowa - zużycie zasobów: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 63		Górna granica	prawdopodobny
SA 64	Koszty jednostkowe opieki standardowej: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 65		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 66	Wskaźnik występowania zdarzeń niepożądanych: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 67		Górna granica	prawdopodobny
SA 68	Koszt zdarzeń niepożądanych: $\pm 100\%$	-100% (0 PLN)	prawdopodobny

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr	Scenariusz analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 69		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 70	Względne ryzyko zgonu w stanach: 95% CI	Dolna granica	prawdopodobny
SA 71		Górna granica	prawdopodobny
SA 72		Brak wpływu na ryzyko zgonu	prawdopodobny

3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO

Obecnie produkt leczniczy Yorvipath® nie jest powszechnie finansowany ze środków publicznych w analizowanym wskazaniu i tym samym składowa kosztów opieki nad pacjentami w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, uwzględniająca podawanie analizowanego produktu, nie jest dostępna.

Prognozy aktualnych wydatków wśród pacjentów w stanie klinicznym, wskazanym we wniosku, przedstawiono w kolejnym rozdziale (scenariusz istniejący). Nie są dostępne inne informacje na temat aktualnych wydatków wśród chorych, którzy będą mogli stosować wnioskowaną technologię w przypadku jej refundacji i ze względu na brak danych nie jest możliwe określenie tych wydatków w inny sposób niż przy uwzględnieniu modelu analizy wpływu na budżet (dane przedstawiono w kolejnym rozdziale).

3.2. WARIANT PRAWDOPODOBNY, MINIMALNY I MAKSYMALNY

Wyniki analizy wpływu na budżet przedstawiono poniżej.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 8. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant prawdopodobny.

Kategoria	Rok	Scenariusz istniejący	Nowy scenariusz	Zmiana (nowy - istniejący)
Sumaryczne wydatki: bez RSS	Rok 1			18 817 167 PLN
	Rok 2			41 609 116 PLN
Sumaryczne wydatki: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt podawania i monitorowania leczenia	Rok 1			
	Rok 2			
Pozostałe koszty	Rok 1			
	Rok 2			

Tabela 9. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant minimalny.

Kategoria	Rok	Scenariusz istniejący	Nowy scenariusz	Zmiana (nowy - istniejący)
Sumaryczne wydatki: bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Sumaryczne wydatki: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt podawania i monitorowania leczenia	Rok 1			
	Rok 2			
Pozostałe koszty	Rok 1			
	Rok 2			

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 10. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant maksymalny.

Kategoria	Rok	Scenariusz istniejący	Nowy scenariusz	Zmiana (nowy - istniejący)
Sumaryczne wydatki: bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Sumaryczne wydatki: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Yorvipath: z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt podawania i monitorowania leczenia	Rok 1			
	Rok 2			
Pozostałe koszty	Rok 1			
	Rok 2			

Wyniki przeprowadzonej analizy wpływu na budżet wskazują, że podjęcie pozytywnej decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, w ramach programu lekowego będzie związane ze wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonych na finansowanie świadczeń medycznych wśród pacjentów z analizowanej populacji. Dodatkowe nakłady finansowe związane z podjęciem refundacji wnioskowanej technologii wynikają z napływu dodatkowych pacjentów do refundacji (tj. objęciem refundacją leczenia pacjentów, którzy aktualnie stosują nierefundowane i niewystarczające do uzyskania kontroli choroby leczenie konwencjonalne).

Wyniki analizy wpływu na budżet świadczą, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych będzie związane z inkrementalną zmianą całkowitych wydatków płatnika publicznego na świadczenia medyczne gwarantowane pacjentom z analizowanej populacji, wynoszącą:

- w wariancie bez RSS:

- 18 817 167 PLN ([REDACTED] w 1. roku;

- 41 609 116 PLN ([REDACTED] w 2. roku;

- w wariancie z RSS:

- [REDACTED] w 1. roku;

- [REDACTED] w 2. roku.

3.3. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI

Wyniki analizy wrażliwości dla analizy wpływu na budżet przedstawiono w tabeli poniżej. Szczegółowe wyniki znajdują się w arkuszu „SA_BIA” modelu dołączonego do opracowania.

Yorvipath® (palopegteryparatydy) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 11. Wyniki analizy wrażliwości.

Nr	Liczba rozp. leczenie Yorvipath®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Yorvipath®, z RSS		Koszt Yorvipath®, bez RSS		Wyniki BIA, z RSS		Wyniki BIA, bez RSS	
	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2
SA 00												
SA 01												
SA 02												
SA 03												
SA 04												
SA 05												
SA 06												
SA 07												
SA 08												
SA 09												
SA 10												
SA 11												
SA 12												
SA 13												
SA 14												
SA 15												
SA 16												
SA 17												
SA 18												
SA 19												
SA 20												
SA 21												
SA 22												
SA 23												
SA 24												

Nr	Liczba rozp. leczenie Yorvipath®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Yorvipath®, z RSS		Koszt Yorvipath®, bez RSS		Wyniki BIA, z RSS		Wyniki BIA, bez RSS	
	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2
SA 25												
SA 26												
SA 27												
SA 28												
SA 29												
SA 30												
SA 31												
SA 32												
SA 33												
SA 34												
SA 35												
SA 36												
SA 37												
SA 38												
SA 39												
SA 40												
SA 41												
SA 42												
SA 43												
SA 44												
SA 45												
SA 46												
SA 47												
SA 48												
SA 49												
SA 50												

Yorvipath® (palopegteryparatydy) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr	Liczba rozp. leczenie Yorvipath®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Yorvipath®, z RSS		Koszt Yorvipath®, bez RSS		Wyniki BIA, z RSS		Wyniki BIA, bez RSS	
	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2	Rok 1	Rok 2
SA 51												
SA 52												
SA 53												
SA 54												
SA 55												
SA 56												
SA 57												
SA 58												
SA 59												
SA 60												
SA 61												
SA 62												
SA 63												
SA 64												
SA 65												
SA 66												
SA 67												
SA 68												
SA 69												
SA 70												
SA 71												
SA 72												

Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.

Testując alternatywne założenia modelowania oraz skrajne warianty oceny parametrów wykorzystanych do kalkulacji liczebności populacji docelowej, zaobserwowano zmianę wyników wariantu prawdopodobnego analizy podstawowej w zakresie: [REDACTED] wyników analizy podstawowej.

Pozostałe założenia modelowania oraz zakres niepewności parametrów wykorzystywanych w modelowaniu na etapie Analizy ekonomicznej [96] nie miały wpływu na wyniki (zmiana w zakresie nieprzekraczającym [REDACTED]).

Nie zidentyfikowano przesłanek do zmiany wniosku z analizy podstawowej.

4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW

Poniżej przedstawiono informacje na temat estymowanego zużycia podstawowych zasobów medycznych w horyzoncie analizy. Ustalono, że największy wpływ na zmiany inkrementalne wydatków z budżetu płatnika publicznego ma liczba zrefundowanych opakowań wnioskowanej technologii w nowym scenariuszu.

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 12. Ocena zużycia zasobów medycznych – liczba zrefundowanych opakowań wnioskowanej technologii stosowanych w analizowanym wskazaniu w przypadku realizacji proponowanego programu lekowego.

	Prawdopodobny	Minimalny	Maksymalny
Rok 1			
Rok 2			

5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE

Nie przeprowadzono analizy wpływu na efekty zdrowotne.

6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH

Stosowanie produktu leczniczego Yorvipath® w analizowanych wskazaniach nie nakłada szczególnych wymogów na pacjenta czy świadczeniodawcę. Leczenie pacjentów z analizowanej populacji nie wymaga dodatkowego wyposażenia placówek medycznych (sprzęt, personel i inne). Ewentualne wymagania związane z analizowaną technologią medyczną są już spełnione przez placówki medyczne w Polsce, obejmujące opieką medyczną pacjentów z HypoPT.

Oceniana technologia obejmuje stosowanie produktu Yorvipath®; decyzja o finansowaniu ze środków publicznych ocenianej technologii nie będzie wiązała się z dodatkowymi nakładami finansowymi ze strony Narodowego Funduszu Zdrowia z tytułu finansowania dodatkowych wymagań związanych z tą technologią medyczną (jak transport pacjenta do wysoko wyspecjalizowanego ośrodka medycznego, na wizyty czy badania związane z podawaniem ocenianego preparatu, finansowania zakupu dodatkowego sprzętu specjalistycznego, szkoleń pracowników służby zdrowia, itp.).

7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE

Produkt leczniczy Yorvipath® (palopegteryparatyd) jest pierwszą i jedyną terapią zarejestrowaną bezpośrednio w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Dostępne dowody naukowe potwierdzają skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa stosowania palopegteryparatydu w tym wskazaniu [41].

Wnioskowana technologia ma status leku sierocznego w leczeniu pacjentów z niedoczynnością przytarczyc.

Analiza ekonomiczna [96] wykazała, że stosowanie leku Yorvipath® będzie związane z inkrementalnym współczynnikiem kosztów-użyteczności przekraczającym przyjęty próg opłacalności (244 821 PLN za dodatkowy rok życia skorygowany o jakość), co jest zjawiskiem często obserwowanym w przypadku leków sierocych stosowanych w chorobach rzadkich.

Co więcej, Plan dla Chorób Rzadkich wprowadzony przez Radę Ministrów (Uchwała nr 110 Rady Ministrów z dnia 24 sierpnia 2021 r. M.P. 2021 poz. 883) zakłada modyfikację oceny ekonomicznej leków sierocych polegającą m.in. na wprowadzeniu odmiennego, wyższego progu opłacalności dla takich technologii medycznych.

Udostępnienie pacjentom z analizowanej populacji jedynej opcji terapeutycznej z potwierdzoną skutecznością (wnioskowana technologia) będzie stanowić odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca.

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania palopegteryparatydu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiągniętych wyników zdrowotnych; od 2. roku refundacji wzrost wydatków z budżetu płatnika publicznego wynosił będzie średnio około [REDAKTOWANO] rocznie (wariant z RSS).

Dodatkowe efekty kliniczne po udostępnieniu pacjentom wnioskowanej technologii mogą przełożyć się na istotny wzrost poziomu satysfakcji pacjentów i ich opiekunów z otrzymanej opieki medycznej.

Nie znaleziono aspektów ingerujących w prawo pacjenta czy w szeroko rozumiane prawa człowieka. Finansowanie stosowania wnioskowanej technologii w analizowanym wskazaniu na rozważanych w opracowaniu zasadach spowoduje, że:

- żadne z grup pacjentów nie będą faworyzowane – korzyści dotyczą całej populacji pacjentów z analizowanym rozpoznaniem;
- niekwestionowany będzie równy dostęp do świadczenia wśród osób z analizowanej populacji.

Dostęp do ocenianej technologii medycznej będzie równy wśród osób, u których jest ona zalecana.

Pozytywna decyzja refundacyjna nie będzie powodować istotnych problemów społecznych.

Pozytywna decyzja o finansowaniu ocenianej technologii lekowej:

- zwiększy poziom satysfakcji pacjentów z analizowanej populacji z otrzymanej opieki medycznej, ze względu na udostępnienie pacjentom skutecznej opcji terapeutycznej;

- nie grozi nieakceptowaniem postępowania pacjentów z analizowanej populacji;
- nie będzie powodować lub wpływać na stygmatyzację;
- nie będzie wywoływać lęku lub dylematów moralnych wśród pacjentów z analizowanej populacji, ich opiekunów oraz lekarzy prowadzących terapię;
- nie będzie stwarzać problemów społecznych dotyczących płci lub rodziny.

8. OGRANICZENIA ANALIZY

W ramach niniejszej analizy część parametrów określono na podstawie wyników modelowania opisanego w Analizie ekonomicznej [96]. Tym samym niektóre ograniczenia przeprowadzonego modelowania [96] dotyczą również niniejszej analizy wpływu na budżet. Niemniej jednak ich wpływ na wyniki jest niewielki co zostało potwierdzone w analizie wrażliwości.

Ograniczeniem związanym z oceną liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym, wskazanym we wniosku, jest zarówno charakter uwzględnionych źródeł informacji, jak i poczynione założenia w odniesieniu do oceny liczebności analizowanej populacji pacjentów (szczegóły w rozdziale 2.5.2.1.1.). Brakuje szczegółowych danych epidemiologicznych dotyczących HypoPT w Polsce, które mogłyby być wykorzystane w niniejszej analizie.

W związku z powyższym brak jest możliwości wiarygodnego oszacowania liczebności populacji docelowej w Polsce na podstawie polskich wskaźników epidemiologicznych. Tym samym konieczne było uwzględnienie danych z innych krajów, danych NFZ [52] oraz opinii ekspertów klinicznych [40].

9. DYSKUSJA

Przedmiotem opracowania była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Yorvipath® (palopegteryparatyd) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca, w ramach programu lekowego.

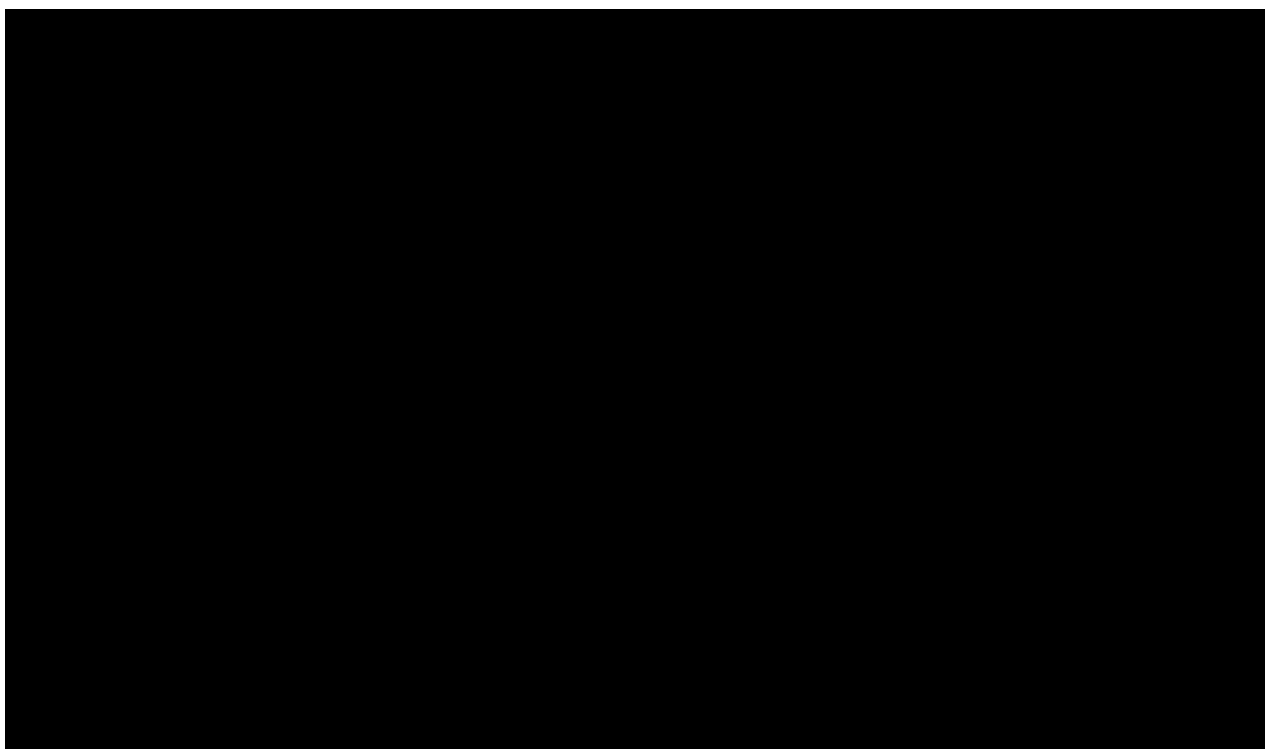
W ramach analizy wykorzystano opublikowane źródła informacji, opinie ekspertów klinicznych (por. informacje przedstawione w Analizie Problemu Decyzyjnego [40]) oraz obliczenia AOTMiT [52]. Szczegóły dotyczące ograniczeń uwzględnionych w opracowaniu źródeł informacji przedstawiono w rozdziałach: 2., 3. i 5. Analizy ekonomicznej [96] oraz w rozdziale 2. niniejszej analizy wpływu na budżet.

Dostępne dowody naukowe potwierdzają skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa stosowania palopegteryparatydu w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca [41].

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania palopegteryparatydu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiągniętych wyników zdrowotnych. Od 2. roku refundacji wzrost wydatków z budżetu płatnika publicznego wynosił będzie średnio około [REDACTED] rocznie (wariant z RSS).

Przedstawiona kwota dodatkowych nakładów finansowych płatnika publicznego w wariantcie z RSS [REDACTED] całkowitego rocznego budżetu na refundację w 2026 roku i [REDACTED] niewykorzystanych środków finansowych z budżetu przeznaczonego na refundację leków w 2026 roku (obliczono na podstawie stopnia wykonania budżetu w okresie styczeń – maja 2026 roku zgodnie z komunikatem DEF NFZ opublikowanym 01.07.2026 roku).

Dostępne informacje NFZ wskazują, że w latach 2012 – 2025 nie przekroczono budżetu na refundację w Polsce. Również ekstrapolacja stopnia wykorzystania budżetu na refundację sugeruje brak przekroczenia tego budżetu w najbliższych latach (rysunek poniżej).



[REDACTED]

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Wykazane powyżej kwoty niewykonania budżetu płatnika publicznego na refundację można wykorzystać na finansowanie nowych, dotychczas nierefundowanych technologii lekowych.

10. WNIOSKI KOŃCOWE

Wyniki niniejszej analizy wskazują, że objęcie refundacją palopegteryparatydu (Yorvipath®) w leczeniu dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca będzie wymagać dodatkowych nakładów finansowych dla płatnika publicznego.

Ustalono, że finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych będzie związane z inkrementalną zmianą całkowitych wydatków płatnika publicznego na świadczenia medyczne gwarantowane pacjentom z analizowanej populacji, wynoszącą:

- w wariantcie bez RSS:

- 18,8 mln PLN ([REDACTED])
[REDACTED] w 1. roku;
- 41,6 mln PLN ([REDACTED])
[REDACTED] w 2. roku;

- w wariantcie z RSS:

- [REDACTED]
[REDACTED] w 1. roku;
- [REDACTED]
[REDACTED] w 2. roku.

Wyniki przeprowadzonej analizy wrażliwości potwierdziły przedstawione wnioski i założenia niniejszej analizy.

11. BIBLIOGRAFIA

- [1] Wytyczne oceny technologii medycznych AOTMiT, wersja 3.0, sierpień 2016. www.aotm.gov.pl (dostęp: styczeń 2026).
- [2] Drummond MF, O'Brien B, Stoddart GL, Torrance GW: Metody badań ekonomicznych programów ochrony zdrowia. Via Media, Gdańsk. 2003.
- [3] Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 30 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy zawarte w uzasadnieniu wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego oraz wniosku o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego objętego refundacją. (Dz.U. z 2023 r. poz. 2345).
- [4] Gajewski P, Jaeschke R, Brożek J: Podstawy EBM, czyli medycyny opartej na danych naukowych dla lekarzy i studentów medycyny. Medycyna Praktyczna Kraków 2008.
- [5] Sheskin DJ: Handbook of parametric and nonparametric statistical procedures. 4th edition, Chapman & Hall/CRC, Boca Raton, 2007.
- [6] Newman SC: Biostatistical methods in epidemiology. John Wiley & sons, Inc, 2001.
- [7] Zeliaś A, Pawełek B, Wanat S: Prognozowanie ekonomiczne. Wydawnictwo Naukowe PWN, Warszawa, 2003.
- [8] Willian AR, Briggs AH: Statistical analysis of cost-effectiveness data. John Wiley & Sons, Ltd, 2007.
- [9] Cantor SB, Ganiats TG: Incremental cost-effectiveness analysis: the optimal strategy depends on the strategy set. J Clin Epidemiol. 1999 Jun;52(6):517-22.
- [10] O'Brien BJ, Briggs AH: Analysis of uncertainty in health care cost-effectiveness studies: An introduction to statistical issues and methods. Statistical Methods in Medical Research. 2002, Vol 11(6); pp 455-468.
- [11] Sonnenberg FA, Beck JR: Markov models in decision making: a practical guide. Med Decis Making 1993, 13: 322-329.
- [12] Miller DK, Homan SM: Determining transition probabilities: confusion and suggestions. Med Decis Making 1994;14:52-8.
- [13] Fleurence RL, Hollenbeak CS. Rates and probabilities in economic modelling: transformation, translation and appropriate application. Pharmacoeconomics. 2007;25(1):3-6.
- [14] Briggs AH, O'Brien JO, Blackhouse G: Thinking outside the box: recent advances in the analysis and presentation of uncertainty in cost-effectiveness studies. Annu Rev Public Health 2002. 23:377-401.
- [15] Tappenden P, Chilcott JB, Eggington S, Oakley J, McCabe C: Methods for expected value of information analysis in complex health economic models: developments on the health economics of interferon-b and glatiramer acetate for multiple sclerosis. Health Technol Assess 2004; 8(27).
- [16] Evans M, Hastings N and Peacock B: "Triangular Distribution." Ch. 40 in Statistical Distributions, 3rd ed. New York: Wiley, pp. 187-188, 2000.
- [17] Limpert E, Stahel WA and Abbt M: 2001. Lognormal distributions across the sciences: keys and clues. Bioscience 51 (5), 341-352.
- [18] Brennan A, Kharroubi S, O'Hagan A and Chilcott J (2007): Calculating Partial Expected Value Of Perfect Information Via Monte-Carlo Sampling Algorithms. Medical Decision Making, 27 (4). 448-470.
- [19] Sculpher M, Claxton K: Establishing the cost-effectiveness of new pharmaceuticals under conditions of uncertainty--when is there sufficient evidence? Value Health. 2005 Jul-Aug;8(4):433-46.
- [20] Briggs AH, Mooney CZ, Wonderling DE. 1999, Constructing confidence intervals for cost-effectiveness ratios: an evaluation of parametric and non-parametric techniques using Monte Carlo simulation. Statistics in Medicine; 18: 3245-62.
- [21] Johnson, N.; Kotz, S.; and Balakrishnan, N. Continuous Univariate Distributions, Vol. 1, 2nd ed. New York: Wiley, 1995.
- [22] Zethraeus N, Johannesson M, Jönsson B, Löthgren M, Tambour M. Advantages of using the net-benefit approach for analysing uncertainty in economic evaluation studies. Pharmacoeconomics. 2003;21(1):39-48
- [23] Berger ML, Binglefors K, Hedblom EC, Pashos CL, Torrance GW: Health Care Cost, Quality, and Outcomes: ISPOR Book of Terms. Lawrenceville, NJ: ISPOR, 2003.
- [24] Connock M, Hyde C, Moore D. Cautions regarding the fitting and interpretation of survival curves: examples from NICE single technology appraisals of drugs for cancer. Pharmacoeconomics. 2011 Oct;29(10):827-37. doi: 10.2165/11585940-000000000-00000.
- [25] Soares MO, Canto E, Castro L. Continuous time simulation and discretized models for cost-effectiveness analysis. Pharmacoeconomics. 2012 Dec 1;30(12):1101-17. doi: 10.2165/11599380-000000000-00000.
- [26] Alan Hastings. Population Biology: Concepts and Models. Springer, 1997. ISBN 978-0-387-94853-9.
- [27] Hoyle MW, Henley W. Improved curve fits to summary survival data: application to economic evaluation of health technologies. BMC Med Res Methodol. 2011 Oct 10;11:139.
- [28] Ishak KJ, Kreif N, Benedict A, Muszbek N. Overview of Parametric Survival Analysis for Health-Economic Applications. Pharmacoeconomics. 2013, 31:663-675.
- [29] ISPOR. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS 2022) statement. <https://www.ispor.org/heor-resources/good-practices/cheers>.

- [30] Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.
- [31] Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych; Dz.U. 2004 nr 210 poz. 2135 z późn. zm.
- [32] Ustawa z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto. Dz. U. Nr 114, poz. 1188 oraz z 2009 r. Nr 98, poz. 817 (tekst ujednolicony).
- [33] WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. www.whocc.no/atc_ddd_index/ (ostatnia aktualizacja: styczeń 2026).
- [34] <https://bip.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2012-2015?id=1392>
- [35] Trikalinos TA, Trow P, Schmid CH. Simulation-Based Comparison of Methods for Meta-Analysis of Proportions and Rates. Methods Research Report. (Prepared by the Tufts Medical Center Evidence-based Practice Center under Contract No. 290-2007-10055- I.) AHRQ Publication No. 13(14)-EHC084-EF. Rockville, MD: Agency for Healthcare Research and Quality; November 2013. www.effectivehealthcare.ahrq.gov/reports/final.cfm.
- [36] Załącznik nr 1 obwieszczenia Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego z dnia 30 października 2024 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2020–2022.
- [37] Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 czerwca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2026 r.
- [38] Katalog produktów leczniczych i wyrobów medycznych portalu „Medycyna Praktyczna”, www.mp.pl (ostatnia aktualizacja: lipiec 2026).
- [39] Katalog leków Pharmindex, <http://pharmindex.pl> (ostatnia aktualizacja: styczeń 2026).
- [40] Przygotowana przez Centrum HTA Sp. z o.o. OTM Sp. K. Analiza Problemu Decyzyjnego (APD). Kraków, styczeń 2026 roku.
- [41] Przygotowana przez Centrum HTA Sp. z o.o. OTM Sp. K. Analiza kliniczna (AK) – przegląd systematyczny badań dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, styczeń 2026 roku.
- [42] Uchwała Nr 6/2025/IV z dnia 10.04.2025 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2024 r. <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-62025iv,6694.html>
- [43] NFZ. Raport refundacyjny z dnia 23.06.2025 za 2024 rok. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8792.html>
- [44] Center for the Evaluation of Value and Risk in Health. The Cost-Effectiveness Analysis Registry [Internet]. (Boston), Institute for Clinical Research and Health Policy Studies, Tufts Medical Center. Available from: www.cearegistry.org (ostatnia aktualizacja: styczeń 2026).
- [45] Holko P. Search Embase.com for economic evaluations: translation of published OVID and PubMed query (Neyt M and Chalon PX. Pharmacoeconomics. 2013;31:1087-90). Jan 2014. DOI: 10.13140/RG.2.2.36545.66407.
- [46] GUS. Trwanie życia w 2025 r. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/trwanie-zycia/trwanie-zycia-w-2025-r-,2,20.html>
- [47] Golicki D. General population reference values for the EQ-5D-5L index in Poland: estimations using a Polish directly measured value set. Pol Arch Intern Med. 2021; 131: 484-486. doi:10.20452/pamw.15943.
- [48] NFZ. Statystyki. 2025. <https://statystyki.nfz.gov.pl/>
- [49] NFZ. Raport refundacyjny z dnia 02.07.2026 za okres styczeń–kwiecień 2026 rok. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8973.html>
- [50] Edwards SJ, Barton S, Thurgar E, Trevor N. Topotecan, pegylated liposomal doxorubicin hydrochloride, paclitaxel, trabectedin and gemcitabine for the treatment of recurrent ovarian cancer: A Multiple Technology Appraisal. Health Technol Assess 2015;19(7).
- [51] Neyt M, Chalon PX. Search MEDLINE for economic evaluations: tips to translate an OVID strategy into a PubMed one. Pharmacoeconomics. 2013 Dec;31(12):1087-90.
- [52] AOTMiT. YORVIPATH (palopegteryparatyd) we wskazaniu: leczenie dorosłych z przewlekłą niedoczynnością przytarczyc. Załącznik do Raportu oceny technologii o wysokiej innowacyjności w ramach Funduszu Medycznego na rok 2024. Nr: WS.425.22.2023. Data ukończenia: 23.02.2024 r. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/wykaz_tli/RAPORTY/2024/WS%20425%2022%202023%20TLI%20Yorvipath%20BIP_REOPTR.pdf
- [53] Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację. Forsteo (teryparatyd) we wskazaniu: niedoczynność przytarczyc. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/061/RPT/61_RPT_OT.4211.10.2023_Forsteo_21092023_BIP_REOPTR.pdf.
- [54] NFZ. Komunikat DGL dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do października 2025 r. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8873.html>

- [55] AWA dla Detriol®
https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/007/AWA/7_AWA_OT.423.0.1.2023_Detriol_BIP_REOPTR.pdf#page=14&zoom=100,62,234.
- [56] GUS. Roczne wskaźniki cen towarów i usług konsumpcyjnych od 1950 roku. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ceny-handel/wskazniki-cen/wskazniki-cen-towarow-i-uslug-konsumpcyjnych-pot-inflacja-/roczne-wskazniki-cen-towarow-i-uslug-konsumpcyjnych/>
- [57] Charakterystyka produktu leczniczego Yorvipath. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yorvipath>
- [58] Materiały do zlecenia AOTMiT nr 58/2021. <https://bipold.aotm.gov.pl/index.php/zlecenia-mz-2021/965-materialy-2021/7353-58-2021-zlc>
- [59] Katalog ambulatoryjnych grup świadczeń specjalistycznych. Załącznik nr 1 do zarządzenia nr 77/2026/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43951/Zarządzenie-77_2026_DSOZ
- [60] Katalog świadczeń i zakresów - leczenie szpitalne - programy zdrowotne (lekowe, 1k). Załącznik nr 1k do zarządzenia nr 75/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43946/Zarządzenie-75_2026_DGL.
- [61] Katalog ryczałów za diagnostykę w programach lekowych (1l). Załącznik nr 1l do zarządzenia nr 75/2026/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43946/Zarządzenie-75_2026_DGL
- [62] Katalog grup 1a (leczenie szpitalne). Załącznik nr 1 do zarządzenia nr 74/2026/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43942/Zarządzenie-74_2026_DSOZ
- [63] Charakterystyka grup ambulatoryjnych świadczeń specjalistycznych. Załącznik nr 3 do zarządzenia nr 77/2026/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43951/Zarządzenie-77_2026_DSOZ
- [64] Charakterystyka JGP. Załącznik nr 9 do zarządzenia nr 74/2026/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 23 lipca 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43942/Zarządzenie-74_2026_DSOZ
- [65] Jędrzejczak J, Majkowska-Zwolińska B, Chudzicka-Bator A, Żerda I, Władysiuk M, Godman B. Economic and social cost of epilepsy in Poland: 5-year analysis. *Eur J Health Econ.* 2021 Apr;22(3):485-497. doi: 10.1007/s10198-021-01269-1. Epub 2021 Feb 13. PMID: 33582892.
- [66] AOTMiT. Jardiance (empagliflozyna) u dorosłych w leczeniu przewlekłej choroby nerek (PChN). https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2023/116/AW/116_AWA_OT.423.0.20.2023_AE_Jardiance.pdf
- [67] Jędrzejczak J, Majkowska-Zwolińska B, Chudzicka-Bator A, Żerda I, Władysiuk M, Godman B. Economic and social cost of epilepsy in Poland: 5-year analysis. *Eur J Health Econ.* 2021 Apr;22(3):485-497. doi: 10.1007/s10198-021-01269-1. Epub 2021 Feb 13. PMID: 33582892.
- [68] Masajtis-Zagajewska A, Kurek R, Modrzyńska K, Coker T, Nowicki M. The Clinical and Economic Burden of Chronic Kidney Disease in Poland: Inside Patient-Level Microsimulation Modelling of CKD. *J Clin Med.* 2024 Dec 26;14(1):54. doi: 10.3390/jcm14010054. PMID: 39797137; PMCID: PMC11721912.
- [69] Zaprutko T, Göder R, Kus K, Pałys W, Rybakowski F, Nowakowska E. The economic burden of inpatient care of depression in Poznań (Poland) and Kiel (Germany) in 2016. *PLoS One.* 2018 Jun 14;13(6):e0198890. doi: 10.1371/journal.pone.0198890. Erratum in: *PLoS One.* 2018 Jul 11;13(7):e0200684. doi: 10.1371/journal.pone.0200684. PMID: 29902259; PMCID: PMC6001949.
- [70] Wilk R, Adamczyk P, Pluskiewicz W, Skrzypek M, Hajzyk M, Koczy B. One year of the COVID-19 pandemic in Poland-the incidence of osteoporotic forearm, arm, and hip fractures. *Arch Osteoporos.* 2022 Mar 3;17(1):38. doi: 10.1007/s11657-022-01086-w. PMID: 35239040; PMCID: PMC8892106.
- [71] Khan AA, Rubin MR, Schwarz P i wsp. Efficacy and Safety of Parathyroid Hormone Replacement With TransCon PTH in Hypoparathyroidism: 26-Week Results From the Phase 3 PaTHway Trial. *J Bone Miner Res.* 2023; 38(1):14-25
- [72] Siggelkow H, Clarke BL, Germak J, Marelli C, Chen K, Dahl-Hansen H, Glenister E, Bent-Ennakhil N, Judge D, Mycock K, Bollerslev J. Burden of illness in not adequately controlled chronic hypoparathyroidism: Findings from a 13-country patient and caregiver survey. *Clin Endocrinol (Oxf).* 2020 Feb;92(2):159-168. doi: 10.1111/cen.14128. Epub 2019 Dec 11. PMID: 31721256; PMCID: PMC7027891.
- [73] PBAC. March 2025. <https://www.pbs.gov.au/industry/listing/elements/pbac-meetings/psd/2025-03/files/palopegteriparatide-psd-march-2025.pdf>
- [74] Khan AA, Bilezikian JP, Brandi ML, et al. Evaluation and Management of Hypoparathyroidism Summary Statement and Guidelines from the Second International Workshop. *J Bone Miner Res.* 2022;37(12):2568-2585.
- [75] Ketteler M, Chen K, Gosmanova EO, et al. Risk of Nephrolithiasis and Nephrocalcinosis in Patients with Chronic Hypoparathyroidism: A Retrospective Cohort Study. *Adv Ther.* 2021;38(4):1946-1957.
- [76] Andayani T, Kristina S, Hidayaturahmah R. Comparison and validation of EuroQol-5 Dimension level and Short Form-6 Dimension in cataract patients. *Pharmacy Education.* 2022;22(2).

- [77] Dyer MT, Goldsmith KA, Sharples LS, Buxton MJ. A review of health utilities using the EQ-5D in studies of cardiovascular disease. *Health Qual Life Outcomes*. 2010;8:13.
- [78] Golicki D, Niewada M, Buczek J, et al. Validity of EQ-5D-5L in stroke. *Qual Life Res*. 2015;24(4):845–850.
- [79] Conrad N, Molenberghs G, Verbeke G, et al. Trends in cardiovascular disease incidence among 22 million people in the UK over 20 years: population based study. *Bmj*. 2024;385:e078523.
- [80] Jesky MD, Dutton M, Dasgupta I, et al. Health-Related Quality of Life Impacts Mortality but Not Progression to End-Stage Renal Disease in Pre-Dialysis Chronic Kidney Disease: A Prospective Observational Study. *PLoS One*. 2016;11(11):e0165675.
- [81] Van Wilder L, Rammant E, Clays E, Devleeschauwer B, Pauwels N, De Smedt D. A comprehensive catalogue of EQ-5D scores in chronic disease: results of a systematic review. *Qual Life Res*. 2019;28(12):3153–3161.
- [82] Shingler S, Fordham B, Evans M, et al. Utilities for treatment-related adverse events in type 2 diabetes. *J Med Econ*. 2015;18(1):45–55.
- [83] Eryildirim B, Sahin C, Tuncer M, et al. Effect of medical expulsive therapy on the health-related quality of life of patients with ureteral stones: a critical evaluation. *Int Urol Nephrol*. 2015;47(8):1271–1275.
- [84] Chen K, Krasner A, Li N, Xiang CQ, Totev T, Xie J. Clinical burden and healthcare resource utilization among patients with chronic hypoparathyroidism, overall and by adequately vs not adequately controlled disease: a multi-country chart review. *Journal of Medical Economics*. 2019;22(11):1141–1152.
- [85] Bollerslev J, Rejnmark L, Zahn A, et al. European expert consensus on practical management of specific aspects of parathyroid disorders in adults and in pregnancy: recommendations of the ESE Educational Program of Parathyroid Disorders (PARAT 2021). *European Journal of Endocrinology*. 2022;186(2):R33–R63.
- [86] Hernández Alava M, Pudney S, Wailoo A. Estimating the Relationship Between EQ-5D-5L and EQ-5D-3L: Results from a UK Population Study. *Pharmacoeconomics*. 2023;41(2):199–207.
- [87] Wester V, de Groot S, Versteegh M, et al. Good Days and Bad Days: Measuring Health-Related Quality of Life in People With Epilepsy. *Value Health*. 2021;24(10):1470–1475.
- [88] Lin CF, Huang YH, Ju LY, et al. Health-Related Quality of Life Measured by EQ-5D in Relation to Hospital Stay and Readmission in Elderly Patients Hospitalized for Acute Illness. *Int J Environ Res Public Health*. 2020;17(15).
- [89] Parathyroid UK. Living with chronic hypoparathyroidism. 2017; <https://www.parathyroiduk.org/wp-content/uploads/2018/05/Living-with-chronic-hypoparathyroidism-final-report.pdf>.
- [90] Rethemiotaki I. Global prevalence of cardiovascular diseases by gender and age during 2010–2019. *Arch Med Sci Atheroscler Dis*. 2023;8:e196–e205.
- [91] van Staa TP, Abenhaim L, Cooper C, Zhang B, Leufkens HG. Public health impact of adverse bone effects of oral corticosteroids. *Br J Clin Pharmacol*. 2001;51(6):601–607.
- [92] Al Rajeh AM, Naser AY, Siraj R, et al. Acute upper respiratory infections admissions in England and Wales. *Medicine (Baltimore)*. 2023;102(21):e33616.
- [93] Safiri S, Mahmoodpoor A, Kolahi AA, et al. Global burden of lower respiratory infections during the last three decades. *Front Public Health*. 2022;10:1028525.
- [94] AOTMiT. Raport w sprawie ustalenia taryfy świadczeń nr WT.521.18.2016. Świadczenia gwarantowane obejmujące leczenie chorób kręgosłupa. Data ukończenia 22.07.2025. <https://bip.aotm.gov.pl/index.php/component/content/article?layout=edit&id=5323>.
- [95] AOTMiT. Materiały do zlecenia nr 116/2026. <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2026/1125-materialy-2026/9695-116-2026-zlc>
- [96] Analiza ekonomiczna dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, lipiec 2026 roku.

12. SPIS TABEL

Tabela 1. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.	12
Tabela 2. Charakterystyki wejściowe pacjentów z analizowanej populacji.	20
Tabela 3. Podsumowanie liczebności całkowitej populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.	23
Tabela 4. Koszty i zużycie zasobów medycznych na cykl 28-dniowy w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia stosowania porównywanych interwencji w przeliczeniu na 1 standardowego pacjenta rozpoczynającego leczenie. Wyniki modelowania [96].	25
Tabela 5. Parametry i założenia modelu Analizy ekonomicznej [96].	28
Tabela 6. Charakterystyka wariantów liczebności populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.	34
Tabela 7. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.	34
Tabela 8. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant prawdopodobny.	38
Tabela 9. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant minimalny.	39
Tabela 10. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant maksymalny.	40
Tabela 11. Wyniki analizy wrażliwości.	42
Tabela 12. Ocena zużycia zasobów medycznych – liczba zrefundowanych opakowań wnioskowanej technologii stosowanych w analizowanym wskazaniu w przypadku realizacji proponowanego programu lekowego.	46
Tabela 13. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań [3] oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMiT.	57

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



13. SPIS RYSUNKÓW

Rysunek 1. Zmiana liczebności chorych w proponowanym programie w przypadku refundacji wnioskowanej technologii.	17
Rysunek 2. Ekstrapolacja stopnia wykorzystania budżetu na refundację.	49

14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY

Tabela 13. Ocena zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z Rozporządzeniem Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań [3] oraz ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTMiT.

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
Część I. Pytania związane z oceną spełnienia minimalnych wymagań				
§ 2.	Czy informacje zawarte w analizie wpływu na budżet są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.4. – 2.8.	lipiec 2026; część informacji przedstawiono w Analizie ekonomicznej
	Czy informacje w zakresie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały: 2.1. i 2.7.	Aktualne Obwieszczenie Ministra Zdrowia (na 1 lipca 2026 roku)
	Czy informacje w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.6. i 2.8.	Aktualny przegląd systematyczny
	Czy przedstawiane w analizie wyniki przeglądów systematycznych (użyteczności, konwergencji wyników, itp.) są aktualne na dzień złożenia wniosku?	TAK	-	Szczegóły w Analizie ekonomicznej
§ 6. ust 1.	Czy analiza wpływu na budżet zawiera:			
pkt 1 lit a	oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentek, u których wnioskowana technologia może być zastosowana lub komentarz stwierdzający zgodność wskazanej populacji z populacją z pkt 1 lit b?	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 1 lit b	oszacowanie rocznej liczebności populacji docelowej, wskazanej we wniosku?	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 1 lit c	oszacowanie rocznej liczebności populacji w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana?	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
pkt 2	oszacowanie 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, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?	TAK	Rozdział 2.5.2.; podsumowanie w rozdziale 2.5.2.3.	-
§ 6. ust 1. pkt 1 i 2	tabelkę ze wskazaniem rocznej liczebności populacji o której mowa w § 6. ust 1. pkt 1 i 2 rozporządzenia (informacje dla każdego roku horyzontu czasowego w tym zakresie)	TAK	w rozdziale 2.5.2.3.	-

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
pkt 3	oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentek <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje?	TAK	Rozdział 3.1.	-
pkt 4	ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentek <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>nie wyda decyzji o obciążeniu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „scenariusz istniejący” lub <i>status quo</i>
	wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy?	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 5	ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentek w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>wyda decyzję o obciążeniu refundacją</u>, o której mowa w art. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa w art. 11 ust. 4 ustawy?	TAK	Rozdział 3.2.	Prognoza opisana jako „nowy scenariusz”; założono pozytywną decyzję w ramach tego scenariusza
	wyszczególnienie składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii ww. prognozy?	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 6	oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentek w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnica w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)?	TAK	Rozdział 3.2.	-
	oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych związanych z refundacją ceny wnioskowanej technologii (<u>różnice w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)?	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 7	<u>minimalny i maksymalny</u> wariant oszacowania, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt 4 i 5 (<u>różnica w całkowitych wydatkach na pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>)?	TAK	Rozdziały 3.2. i 3.3.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
	• <u>minimalny i maksymalny</u> wariant oszacowania, o którym mowa w pkt 6 – różnica pomiędzy prognozą, o których mowa w pkt 4 i 5 w zakresie wydatków dotyczących refundacji ceny wnioskowanej technologii (<u>różnicy w wydatkach na refundację ceny wnioskowanej technologii</u>)?	TAK	Rozdziały 3.2. i 3.3.	-
pkt 8	• zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie, których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5;	TAK	Rozdziały 2. i 3., podsumowanie w tabeli 13.	Szczegóły dotyczące danych wejściowych w analizie ekonomicznej
pkt 9	• wyszczególnienie założeń, na podstawie, których dokonano oszacowań, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5?	TAK	Rozdział 2., podsumowanie w rozdziale 2.9.	Część informacji przedstawiona w analizie ekonomicznej (nie duplikowano przedstawionych informacji)
	• wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu?	TAK	Rozdział 2.1.	-
pkt 10	• dokument elektroniczny, umożliwiający <u>powtórzenie</u> wszystkich kalkulacji, w wyniku, których uzyskano oszacowania, o których mowa w pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w pkt 4 i 5. oraz komentarz w raporcie stwierdzający obecność takiego dokumentu?	TAK	Mowa o nim m.in. w rozdziale 2.5.	-
§ 6. ust 2.	Czy przeprowadzone oszacowania przeprowadzono w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku od zajścia zmiany wynikającej z wydania przez ministra właściwego do spraw zdrowia decyzji o objęciu refundacją?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 3. pkt 4.	Czy przeprowadzone oszacowania obejmują przewidywany przedział czasu nie krótszy niż 2 lata?	TAK	Rozdział 2.3.	-
§ 6. ust 3.	Czy szacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonano na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
	Czy jeżeli nie było możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet zawiera dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane?	TAK	Rozdział 2.5.	-

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
§ 6. ust 1.	Czy opisano metody analizy w zakresie: rodzaju parametrów epidemiologicznych określających wielkość populacji (zapadalność vs. rozpowszechnienie), okresu generowania wyników zdrowotnych i kosztów (np. przesunięcie w czasie wynikające z takiego samego prawdopodobieństwa włączenia do obserwacji pacjentek), estymacji wyników BIA z uwzględnieniem wyników analizy ekonomicznej (wyniki w ujęciu populacyjnym na podstawie wyników modelowania kohortowego), jeżeli dotyczy?	TAK	Rozdziały 2.5., 2.6. i 2.8.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 1-2 (wielkość populacji), przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 2.5.	
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 2.5.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 3 (aktualne wydatki), przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.1.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.1.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5 (całkowite wydatki dla porównywanych prognoz) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.2.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.2.	-
§ 6. ust 4.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, o których mowa w art. 11 ust. 2 pkt 7 ustawy, oszacowania, o których mowa w ust. 1 pkt 6 i 7 (różnice w całkowitych wydatkach, różnice w wydatkach na refundację wnioskowanej technologii – wariant średni, minimalny, maksymalny) przedstawiono w następujących wariantach:			
pkt 1	• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.2.-3.3.	-
pkt 2	• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	TAK	Rozdział 3.2.-3.3.	-
§ 6. ust 5.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy?	TAK	Rozdział 2.1.	-
§ 6. ust 6.	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	TAK	Rozdział 2.1.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
§ 3. pkt 7 i 9	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
§ 3. pkt 7 i 9	Czy obliczenia przedstawione w analizie wpływu na budżet uwzględniają refundowane na terenie Polski procedury medyczne możliwe do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, zgodnie ze stanem faktycznym w dniu złożenia wniosku lub komentarz argumentujący brak takich procedur?	TAK	Rozdział 2.4.	-
§ 8.	Czy analiza zawiera:			
pkt 1	dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji?	TAK	Rozdział 12.	-
pkt 2	wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii?	TAK	Rozdział 2.;	-
Część II. Ocena metodyki analizy wpływu na budżet zgodna z kryteriami AOTM (wypełnia audytor/koordynator)				
AWA	Czy założenia dotyczące liczebności populacji pacjentek, w której będzie stosowany i finansowany wnioskowany lek zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy uzasadniono wybór horyzontu czasowego?	TAK	Rozdział 2.3.	-
AWA	Czy założenia dotyczące leków obecnie stosowanych w danym wskazaniu i ich finansowania (ceny, limity, poziom odpłatności) i innych uwzględnionych świadczeń (wycena punktowa i wartość punktów) są zgodne ze stanem na dzień złożenia wniosku?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.7.	Szczegóły przedstawiono w analizie ekonomicznej;
AWA	Czy założenia dotyczące zmian w analizowanym rynku leków zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy założenia dotyczące struktury i zmian w analizowanym rynku leków są zgodne z założeniami dotyczącymi komparatorów przyjętymi w analizach klinicznej i ekonomicznej?	TAK	Rozdziały 2.4. i 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące aktualnej i przyszłej sprzedaży wnioskowanego leku są spójne z danymi udostępnionymi przez NFZ?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
AWA	Czy twierdzenia i założenia dotyczące przyszłej sprzedaży leku są spójne z danymi z wniosku?	TAK	Rozdział 2.5.2.; 4.	-

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
AWA	Czy założenie dotyczące poziomu odpłatności wnioskowanego leku spełnia kryteria art. 14 ustawy o refundacji?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy założenie dotyczące kwalifikacji wnioskowanego leku do grupy limitowej zostały dobrze uzasadnione?	TAK	Rozdział 2.1.	-
AWA	Czy dokonano oceny niepewności uzyskiwanych oszacowań?	TAK	Rozdziały 2.9. i 3.3.-3.5.	Analiza wartości skrajnych + analiza wrażliwości
AWA	Czy nie pominięto żadnej istotnej dla oceny wpływu na budżet kategorii kosztów?	TAK	Rozdziały 2.7. i 3.5.	Szczegóły w analizie ekonomicznej
AWA	Czy uzasadniono prognozę przekroczenia całkowitego budżetu na refundację i udziału podmiotu w kwocie przekroczenia?	TAK	Rozdział 9.	-
AWA	Czy nie stwierdzono innych błędów w podejściu analitycznym wnioskodawcy, obniżających wiarygodność przedstawionej analizy?	TAK	-	Nie stwierdzono
AWA	Czy nie stwierdzono błędów w obliczeniach lub ekstrakcji danych, które wpłynęły na wyniki oszacowań?	TAK	-	Nie stwierdzono
Część III. Dodatkowe pytania związane z oceną analizy opracowane m.in. na podstawie Wytycznych AOTM (wypełnia audytor/koordynator)				
5.1.1. W.AOTM	Czy zdefiniowano charakter populacji (otwarta/zamknięta) i czy przedstawiono kryteria włączenia i wyłączenia poszczególnych pacjentek z analizy wpływu na budżet (generowania raportowanych kosztów i efektów)?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
5.1.1. W.AOTM	Czy w przypadku współpłacenia przedstawiono koszty ponoszone przez pacjenta, ich wartości średnie, a w uzasadnionych przypadkach także zakres?	TAK	Rozdział 2.2.	-
5.1.1. W.AOTM	Czy analizę wpływu na budżet przeprowadzono z perspektywy świadczeniobiorcy lub przedstawiono komentarz argumentujący brak tej perspektywy?	TAK	Rozdział 2.2.	-
5.1.2. W.AOTM	Czy uwzględniono horyzont czasowy wystarczający do ustalenia równowagi na rynku lub obejmujący co najmniej pierwsze 2 lata (tj. 24 miesiące) od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy zdefiniowano punkt początkowy analizy wpływu na budżet i czy przedstawiono wyniki oceny wpływu wnioskowanej technologii na jednoroczny budżet opieki zdrowotnej (podział horyzontu czasowego na okresy związane z planowanym budżetem płatnika publicznego)?	TAK	Rozdział 2.3.	-
5.1.3. W.AOTM	Czy przeprowadzono analizę wrażliwości?	TAK	Rozdział 2.9.	-

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
5.1.3. W.AOTM	Czy uwzględniono scenariusz przedstawiający aktualną praktykę („scenariusz istniejący”) oraz scenariusz przewidywany po wprowadzeniu nowej/usunięciu obecnie refundowanej technologii („scenariusz nowy”), koszty ww. scenariuszy oraz wyniki inkrementalne?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.4. W.AOTM	Czy uwzględniono źródła danych zgodne z opisem przedstawionym w rozdziale 5.1.4. Wytycznych oraz czy przedstawiono sposób ich wyszukiwania?	TAK	Rozdział 2.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy wzięto pod uwagę możliwe zwiększenie liczebności populacji indukowane dostępnością nowej technologii na rynku?	TAK	Rozdziały 2.4., 2.5.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy liczebność populacji oceniono poprzez: (1) określenie rozpowszechnienia rozważanego stanu chorobowego, (2) oszacowanie liczby osób, dla których istniałyby wskazania do zastosowania technologii, (3) oszacowanie pozycji rynkowej technologii w poszczególnych wskazaniach na podstawie spodziewanego odsetka populacji, który będzie używać rozważanej technologii, w zestawieniu z częścią populacji, która będzie używać technologii opcjonalnych w danym wskazaniu?	TAK	Rozdziały 2.5. i 2.8.	-
5.1.5. W.AOTM	Czy skonstruowano alternatywne warianty do oceny liczebności populacji?	TAK	Rozdział 2.5.2.	-
5.1.6. W.AOTM	Czy opisano i uzasadniono założenia dotyczące „scenariusza istniejącego” oraz „scenariusza nowego”?	TAK	Rozdział 2.4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy zostało przeanalizowane stwierdzenie, że skalkulowane wydatki będą zauważalne w rzeczywistej praktyce?	TAK	Rozdział 3.2.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy przedstawiono wyniki oceny zużycia poszczególnych świadczeń medycznych uwzględnionych w analizie?	TAK	Rozdział 3. i 4.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy nie uwzględniono dyskontowania wraz z komentarzem uzasadniającym to podejście?	TAK	Rozdział 2.7.	-
5.1.7. W.AOTM	Czy w ocenie kosztów całkowitych uwzględniono: wydatki związane z ocenianą technologią, koszt dodatkowych nakładów w systemie ochrony zdrowia związanych z wdrożeniem ocenianej technologii, zmniejszenie nakładów związanych ze zmniejszonym stosowaniem dotychczasowych technologii w przypadku przejścia na ocenianą technologię, zmniejszenie kosztów związanych z oszczędnościami w zakresie innych świadczeń (np. redukcją hospitalizacji)?	TAK	Rozdziały 2.6., 2.7.	-
- W.AOTM	Czy przedstawiono komentarz związany z opisem warunków wprowadzenia wnioskowanej technologii i związanych z tym kosztów (potrzeba przeszkolenia personelu, opracowania nowych wytycznych klinicznych bądź zmiany zasad diagnostyki)?	TAK	Rozdział 6.	-

Yorvipath® (palopegteryparatyd) jako terapia zastępcza parathormonem wskazana do leczenia dorosłych pacjentów z niedoczynnością przytarczyc, u których kontrola choroby za pomocą terapii konwencjonalnej jest niewystarczająca. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
- W.AOTM	Czy przedstawiono wpływ rozważanej decyzji na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych (wydatki publiczne w sektorach innych niż ochrona zdrowia)?	TAK	Rozdział 6.	-
Czy przeanalizowano aspekty etyczne i społeczne rozważanej decyzji, w zakresie:				
5.2. W.AOTM	kosztów lub wyników zdrowotnych dotyczących osób innych niż w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (wpływy zewnętrzne)?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	faworyzowania niektórych grup pacjentek na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	równego dostępu do wnioskowanej technologii przy jednakowych potrzebach?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	zakresu korzyści w odniesieniu do wielkości populacji (duża korzyść dla wąskiej grupy osób; korzyść mała, ale powszechna)?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	niezaspokojonych dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	odpowiedzi dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	generowania problemów społecznych (tj. poziomu satysfakcji pacjentek z otrzymywanej opieki medycznej, akceptacji postępowania przez poszczególnych chorych, stygmatyzacji, lęku, dylematów moralnych, problemów dotyczących płci, problemów rodzinnych)	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	braku sprzeczności rozważanej decyzji z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach w wyniku podjęcia rozważanej decyzji?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	oddziaływania rozważanej decyzji na prawa pacjenta lub prawa człowieka?	TAK	Rozdział 7.	-
5.2. W.AOTM	szczególnego podejścia do pacjenta, tj. konieczności szczególnego informowania pacjenta/opiekuna, potrzeby zapewnienia pacjentowi prawa do poszanowania godności i intymności oraz tajemnicy informacji z nim związanych oraz potrzeby uwzględnienia indywidualnych preferencji, po przedstawieniu choremu/opiekunowi informacji w zakresie określonym w prawie?	TAK	Rozdział 6. i 7.	-
5.2. W.AOTM	Czy podsumowanie analizy wpływu na system ochrony zdrowia przeprowadzono w oparciu o analizę SWOT?	Nie dotyczy	-	-
5.3. W.AOTM	Czy przedstawiono wnioski odnoszące się do celu analizy i będące bezpośrednio związane z uzyskanymi wynikami?	TAK	Rozdział 10.	

Nr ^a	Pytanie	Odpowiedź	Odwołanie ^b	Uwagi
5.1.10. W.AOTM	Czy przedstawiono dyskusję, w tym omówienie ograniczeń analizy?	TAK	Rozdział 8. i 9.	-

^a fragment tekstu Rozporządzenia Ministra Zdrowia [3] do którego odnoszą się wskazane pytania; AWA – pytania zaczerpnięte z analiz weryfikacyjnych AOTMiT; W.AOTM – dodatkowe pytania zgodności analizy z Wytycznymi AOTMiT z 2016 roku; ^b numer rozdziału, tabeli, wykresu i/albo strony umożliwiający identyfikację fragmentu(ów) analizy odnoszącego(ych) się do wskazanego zagadnienia