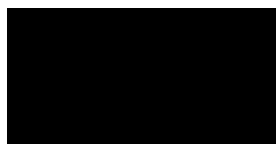




**Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu
pacjentów z glomerulopatią C3 lub
pierwotnym błoniasto-rozplemowym
kłębuszkowym zapaleniem nerek z
kompleksami immunologicznymi**

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA



Kraków, sierpień 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)	Swedish Orphan Biovitrum Sp. z o.o. Ul. Sienna 82 00-815 Warszawa	
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	12
2. METODY PRZEPROWADZENIA ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	12
2.1. OCENIANA TECHNOLOGIA I SPOSÓB JEJ FINANSOWANIA	14
2.2. PERSPEKTYWA ANALIZY	18
2.3. HORYZONT CZASOWY ANALIZY	18
2.4. SCENARIUSZE PORÓWNYWANE I PUNKTY KOŃCOWE ANALIZY	20
2.5. CHARAKTERYSTYKA I LICZEBNOŚĆ ANALIZOWANEJ POPULACJI	23
2.6. ANALIZA WPŁYWU NA SKUTKI ZDROWOTNE	35
2.7. KOSZTY UWZGLĘDNIONE W OPRACOWANIU	35
2.8. METODY ESTYMACJI WYNIKÓW ANALIZY W UJĘCIU POPULACYJNYM	41
2.9. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI I WYKAZ PARAMETRÓW ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	43
3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET	47
3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO	47
3.2. WARIANT PRAWDOPODOBNY, MINIMALNY I MAKSYMALNY	47
3.3. ANALIZA WRAŻLIWOŚCI	51
4. ANALIZA ZUŻYTYCH ZASOBÓW	58
5. ANALIZA WPŁYWU NA EFEKTY ZDROWOTNE	58
6. ANALIZA WPŁYWU NA ORGANIZACJĘ UDZIELANIA ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH	59
7. ASPEKTY ETYCZNE I SPOŁECZNE	59
8. OGRANICZENIA ANALIZY	61
9. DYSKUSJA	61
10. WNIOSKI KOŃCOWE	63
11. BIBLIOGRAFIA	65
12. SPIS TABEL	70
13. SPIS RYSUNKÓW	71
14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY	72

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
C3G	ang. <i>C3 glomerulopathy</i> ; glomerulopatia C3
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CI	ang. <i>Confidence Interval</i> ; Przedział ufności
CKD	ang. <i>Chronic Kidney Disease</i> ; przewlekła choroba nerek
DSA	ang. <i>Deterministic Sensitivity Analysis</i> ; Deterministyczna analiza wrażliwości (tu: jedno- i wielokierunkowa analiza wrażliwości i analiza scenariuszowa)
eGFR	ang. <i>Estimated Glomerular Filtration Rate</i> ; Oszacowany współczynnik filtracji kłębuszkowej
EMA	ang. <i>European Medicines Agency</i> Europejska Agencja Leków
ESRD	ang. <i>end-stage renal disease</i> ; Schyłkowa choroba nerek
IC-MPGN	ang. <i>immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis</i> ; błoniasto-rozplemowe kłębuszkowe zapalenie nerek z kompleksami immunologicznymi
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
RSS	ang. <i>Risk Sharing Scheme</i> ; Porozumienie podziału ryzyka
UCI	ang. <i>Upper Confidence Interval</i> ; Górna granica przedziału ufności
uPCR	ang. <i>urine Protein-to-Creatinine Ratio</i> ; stosunek białka do kreatyniny w moczu

STRESZCZENIE

CEL ANALIZY

Celem analizy była ocena wpływu na system ochrony zdrowia podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplamowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, 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 pacjenci w wieku od 12 lat i starsi z glomerulopatią C3 (ang. *C3 glomerulopathy*, C3G) lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplamowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi (ang. *immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis*, IC-MPGN), zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem do stosowania wnioskowanej technologii [57] oraz strukturą proponowanego programu lekowego [105];
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w dawce zgodnej z Charakterystyką produktu leczniczego [57] (zużycie 2 fiolek 20 ml na tydzień u wszystkich pacjentów, niezależnie od objętości przyjętej dawki czy pominięcia tej dawki), dodawanej do terapii konwencjonalnej (I);
- wnioskowaną technologię porównano z brakiem leczenia przyczynowego (z uwagi na fakt, iż pegcetakoplan stanowi przełomowe leczenie dla populacji o niezaspokojonych potrzebach komparator stanowi najlepsza opieka wspomagająca [ang. *best supportive care*, BSC] rozumiana jako brak zastosowania pegcetakoplanu i stosowanie m.in. inhibitorów układu renina-angiotensyna, kortykosteroidów, leków cytotoksycznych i/lub leków immunosupresyjnych);
- opierając się na wynikach Analizy klinicznej [41] w opracowaniu uwzględniono różnice między wnioskowaną technologią a komparatorem w zakresie stopnia redukcji proteinurii (uwzględnionej jako wyższe prawdopodobieństwa przejść do stanów z niższym stopniem proteinurii, definiowanych wg stosunku białka do kreatyniny w moczu [ang. *urine Protein-to-Creatinine Ratio*, uPCR]) i związanymi z nim efektami pod postacią: zmiany progresji przewlekłej choroby nerek (poprzez zmianę tempa spadku szacowanego współczynnika filtracji kłębuszkowej [ang. *Estimated Glomerular Filtration*, eGFR] i tempa progresji do bardziej zaawansowanych stanów wg klasyfikacji przewlekłych chorób nerek, ang. *Chronic Kidney Disease*, CKD) [75], [77], [82], [83], [84], [85], [86] i zmiany prawdopodobieństwa stabilizacji choroby (brak zmiany eGFR u pacjentów z silnie kontrolowaną proteinurią) i jej późniejszego nawrotu [75], [79], co kolei związane było pośrednio ze zmianą ryzyka wystąpienia schyłkowej niewydolności nerek (ang. *end-stage renal disease*, ESRD), konieczności przeprowadzenia dializoterapii, przeprowadzenia przeszczepu nerki, a także: wystąpienia zgonu (z przyczyn związanych z chorobą nerek lub z przyczyn sercowo-naczyniowych), udaru, niewydolności serca i zawału mięśnia sercowego [93], [99]. W niniejszej analizie uwzględniono jedynie konsekwencje kosztowe różnicy w efektywności klinicznej porównywanych interwencji określone na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej [104] (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 pegcetakoplanu 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.).

Aktualnie stosowane leczenie C3G/IC-MPGN nie zapobiega pogarszaniu się czynności nerek ani rozwojowi nieodwracalnego uszkodzenia nerek; u pacjentów z C3G/IC-MPGN obserwuje się systematyczną progresję do schyłkowej niewydolności nerek (ESKD). Dla chorych, którzy osiągną ESKD, jedynymi dostępnymi opcjami terapeutycznymi pozostają dializoterapia oraz przeszczepienie nerki, jednak interwencje te wiążą się z wieloma obciążeniami i wyższym ryzykiem zgonu. Wobec braku dostępnego leczenia przyczynowego/modyfikującego przebieg choroby u pacjentów z C3G/IC-MPGN, występuje wysoka niezaspokojona potrzeba medyczna w tej populacji chorych.

C3G/IC-MPGN jest chorobą rzadką, diagnozowaną rocznie u kilkudziesięciu pacjentów w Polsce z chorobowością na poziomie do kilkunastu setek pacjentów (por. rozdział 2.5.2.). Wnioskowana technologia posiada status leku sierocznego w leczeniu C3G/IC-MPGN (opinia nr EU/3/22/2716 z dnia 11 listopada 2022 roku) ponieważ została opracowana do leczenia rzadkiej, zagrażającej życiu lub przewlekłej wyniszczającej choroby i/lub jej opracowanie bez zachęt byłoby mało prawdopodobne. Wnioskowana technologia nie jest finansowana ze środków publicznych w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi [37]. Przy braku refundowanej alternatywy, pacjenci w chwili obecnej stosują przede wszystkim samo leczenie konwencjonalne (BSC), które nie zapewnia pełnej kontroli choroby. Strukturę BSC określono na podstawie danych z badania VALIANT – uwzględniono najczęściej stosowane terapii towarzyszące: inhibitory ACE lub antagoniści receptora angiotensyny II (ACEi/ARB); leki immunosupresyjne; glikokortykosteroidy ogólnoustrojowe; inhibitory SGLT2.

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 istniejącej grupy limitowej „1286.0, Pegcetakoplan”, w której wnioskowana technologia jest obecnie refundowana w leczeniu chorych na napadową nocną hemoglobinurią. Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie jako lek stosowany w programie lekowym. Wnioskowana technologia nie posiada odpowiednika refundowanego, nie ma refundowanej opcji terapeutycznej w analizowanym wskazaniu w Polsce oraz posiada udowodnioną przewagę kliniczną nad leczeniem konwencjonalnym dostępnym w Polsce (na podstawie wyników badania VALIANT [54]). Na tej podstawie uznano, że refundacja w grupie limitowej osobnej dla pegcetakoplanu 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].

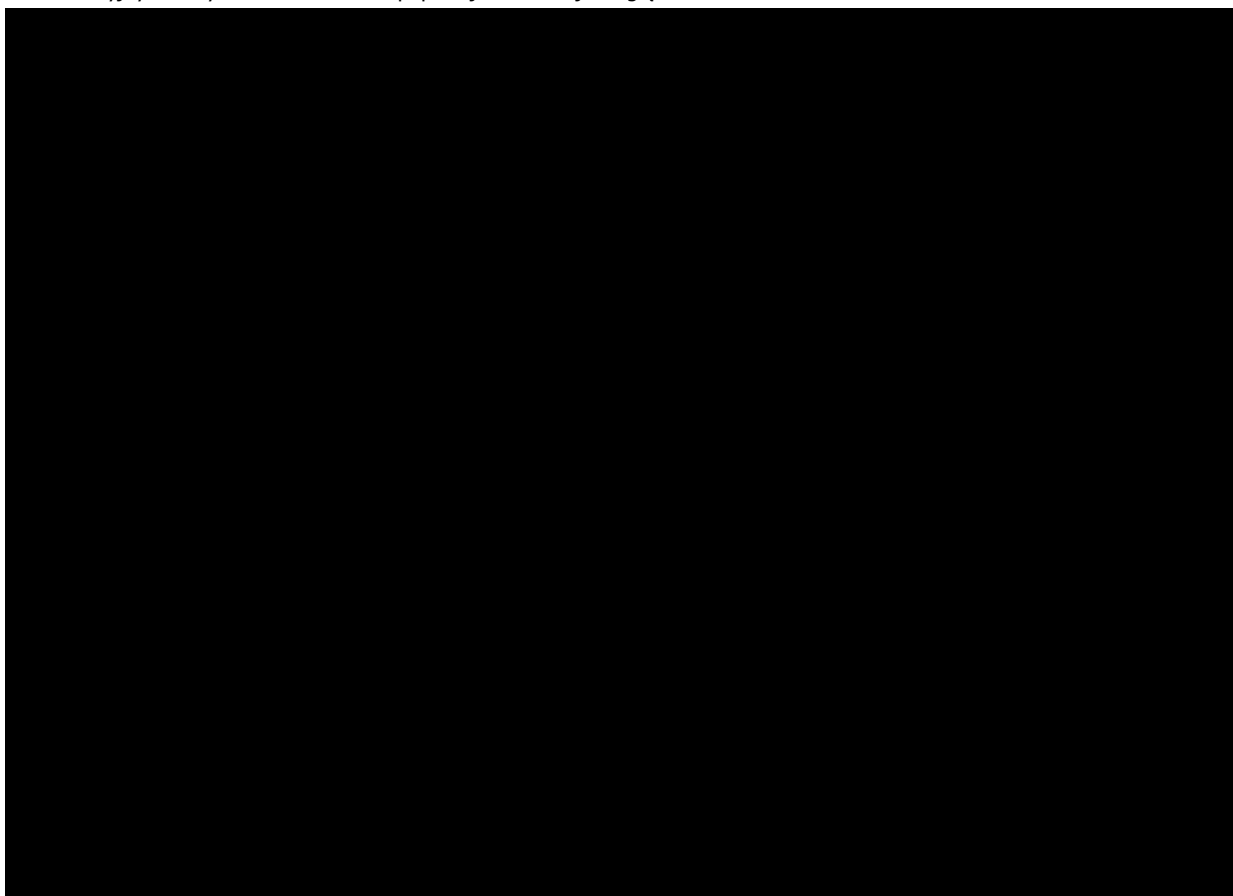
Koszt pozostałych leków (kwas mykofenolowy, azatiopryna, dapagliflozyna, lizynopryl, losartan, mykofenolan mofetylu, prednisolon, ramipryl, takrolimus) określono na poziomie średniego kosztu jednostkowego leków refundowanych [37] ważonego rynkiem sprzedaży w 2026 roku [49].

Koszt opieki medycznej oraz koszt powikłań C3G/ IC-MPGN określono na podstawie dostępnych źródeł danych dotyczących kosztu w warunkach polskich – uwzględniono zarówno wyniki badań kosztów choroby jak i założenia opublikowanych analiz ekonomicznych [66], [67], [68]. Dane historyczne zaktualizowano do cen z 2026 roku uwzględniając wskaźniki cen towarów i usług konsumpcyjnych [56]. Dane z innych krajów (wariant analizy wrażliwości uwzględniający koszt opieki medycznej w stanach na podstawie [52]) poddano konwersji do PLN z wykorzystaniem danych dotyczących współczynników konwersji PPP [55] i zaktualizowano do cen z 2026 roku uwzględniając wskaźniki cen towarów i usług konsumpcyjnych [56].

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 2. roku refundacji liczba pacjentów w proponowanym programie lekowym nie zmienia się co miesiąc o więcej niż $\pm 5\%$) oraz 2-letni okres obowiązywania decyzji refundacyjnej dla wnioskowanej technologii [30].

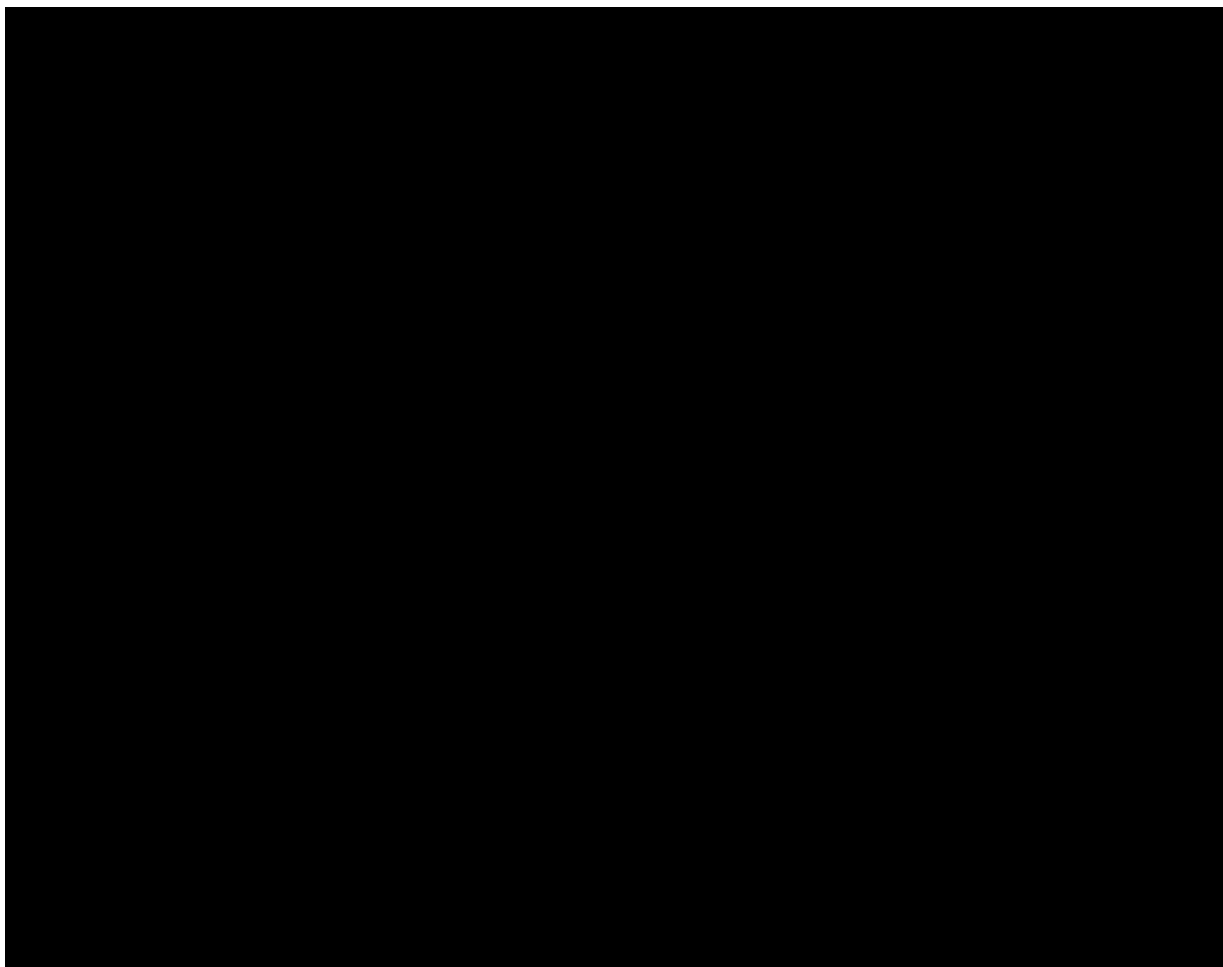
W ramach analizy wpływu na budżet uwzględniono trzy warianty oceny liczebności populacji docelowej: wariant „najbardziej prawdopodobny”, wariant „minimalny” i wariant „maksymalny”. Przy ocenie skrajnych wariantów uwzględniono zakres niepewności parametrów wpływających na liczebność populacji docelowej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





- docelowe wykorzystanie wnioskowanej technologii określone na podstawie dwóch parametrów:



Analogicznie jak w przypadku analizy dotyczącej nefropatii IgA [74], w ramach niniejszej analizy zapadalność i chorobowość C3G/IC-MPGN określono na podstawie wyników badania Perkowska-Ptasinska 2017 [70], przy uwzględnieniu średniej rocznej liczby biopsji nerek na poziomie wskaźnika biopsji z 2014 roku, tj. 1 650 biopsji przy uwzględnieniu liczebności populacji Polski na poziomie 37 489 087 osób [34]. Dane te wskazują, że w Polsce co roku diagnozowanych jest około 54 chorych na C3G/IC-MPGN. Wykorzystując liczbę nowozdiagnozowanych chorych co roku oraz iloraz wskaźnika chorobowości i wskaźnika zapadalności określonego na podstawie danych z innych krajów [71], [72], [73], przy uwzględnieniu metody przedstawionej w [65] i [69], określono chorobowość C3G/IC-MPGN wynoszącą: 1 513 chorych (od 1 203 do 1 805).

Opierając się na informacjach przedstawionych dla chorych na nefropatię IgA, których liczebność oceniana była w analogiczny sposób jak przedstawiono powyżej [74], w ramach nowego scenariusza uwzględniono stosowanie wnioskowanej technologii tylko u części pacjentów. Poza wskazanymi w opisie programu lekowego kryteriami zastosowania wnioskowanej technologii (diagnoza C3G/IC-MPGN; wiek >11 lat; uPCR≥1; szybka progresja; eGFR≥30 ml/min/1,73 m², co przekłada się w przybliżeniu na stan CDK<4) istnieje szereg aspektów, które u poszczególnych pacjentów będą wpływały na możliwość zastosowania wnioskowanej technologii. Dotyczy to zarówno aspektów klinicznych (brak wyników aktualnej biopsji nerek, zmiany przewlekłe nerek – zwłóknienia kłębuszków, współwystępowanie innych chorób), zastosowanego leczenia jak i aspektów administracyjnych (realizacja programu lekowego w ośrodku, do którego uczęszcza pacjent).

[REDACTED]

[REDACTED]

Stosunkowo szerokie zakresy niepewności liczebności populacji docelowej określonej na podstawie danych epidemiologicznych wynikały z uwzględnienia całego zakresu niepewności wszystkich parametrów niepewnych. Z tej przyczyny wyniki skrajnych wariantów analizy cechują się bardzo niskim prawdopodobieństwem wystąpienia ($\leq 2,5\%$ dla każdego parametru).

Niemniej jednak uwzględniając różnice we wskaźnikach zapadalności na C3G/IC-MPGN i nefropatię IgA (4,6% vs 20% wśród biopsji u dorosłych [70] oraz różnice w definicji białkomoczu $uPCR \geq 1$ vs $uPCR \geq 1,5$) przedstawione powyżej oczekiwane liczebności populacji chorych rozpoczynających leczenie w programie znajdują potwierdzenie w liczebnościach prezentowanych w analizach dla nefropatii IgA (przedstawione liczebności 2-3-krotnie niższe od tych przedstawionych dla nefropatii IgA) [74].

W ramach analizy wrażliwości testowano pozostałe warianty oceny liczebności populacji docelowej – obliczenia na podstawie opinii ekspertów klinicznych lub wskaźników epidemiologicznych z innych krajów [70], [71], [72]. Testowano również:

[REDACTED]

W opracowaniu uwzględniono włączanie pacjentów do programu z takim samym prawdopodobieństwem w każdym kwartale danego roku (jednostajnie w roku).

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 [104].

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 Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, w ramach programu lekowego będzie związane ze wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonych na finansowanie świadczeń medycznych wśród pacjentów z analizowanej populacji.

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:
 - 73 641 801 PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [REDACTED]) w 1. roku;
 - 263 641 896 PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [REDACTED]) w 2. roku;
- w wariantcie z RSS:
[REDACTED]

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]

Pozostałe założenia modelowania oraz zakres niepewności parametrów wykorzystywanych w modelowaniu na etapie Analizy ekonomicznej [104] nie miały wpływu na wyniki [REDACTED]

Dostępne dowody naukowe potwierdzają skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa stosowania pegcetakoplanu w tym wskazaniu [41]. W ramach przeprowadzonego modelowania na etapie analizy ekonomicznej [104], przekładającego wyniki badania klinicznego 3 fazy o akronimie VALIANT [54] na długoterminowe efekty kliniczne wykazano, że stosowanie leku Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat i starszych z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi prowadzi do redukcji poziomu proteinurii (uPCR), spowolnienia tempa progresji choroby nerek (spadku eGFR), wydłużenia czasu pozostawiania bez dializoterapii i/lub przeszczepienia nerki (średnio o 27,6 roku) oraz zwiększenia prawdopodobieństwa i czasu utrzymywania stabilizacji choroby. Powyższe korzyści kliniczne przełożyły się na przedłużenie życia chorego (średnio o 7 lat), wzrost jakości życia chorego oraz

redukcję kosztów w ciągu dalszego przebiegu choroby (w szczególności kosztów dializoterapii i przeszczepienia nerki, a także kosztu leczenia zdarzeń sercowo-naczyniowych). Dodatkowo zaobserwowano, że zmniejszenie zapotrzebowania na przeszczep nerki wśród chorych stosujących pegcetakoplan może przełożyć się na poprawę wyników zdrowotnych i oszczędności wśród innych pacjentów oczekujących na przeszczep.

Analiza ekonomiczna [104] wykazała, że stosowanie leku Aspaveli® 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 pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi.

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania pegcetakoplanu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiągniętych wyników zdrowotnych. [REDACTED]

[REDACTED]

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

Refundacja wnioskowanej interwencji umożliwi dostęp pacjentom i lekarzom w Polsce do skutecznej, łatwo dostępnej i dogodnej w stosowaniu terapii niemającej alternatywy w warunkach polskich.

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 Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, 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 pacjenci w wieku od 12 lat i starsi z glomerulopatią C3 (ang. *C3 glomerulopathy*, C3G) lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi (ang. *immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis*, IC-MPGN), zgodnie z zarejestrowanym wskazaniem do stosowania wnioskowanej technologii [57] oraz strukturą proponowanego programu lekowego [105];
- wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w dawce zgodnej z Charakterystyką produktu leczniczego [57] (zużycie 2 fiolek 20 ml na tydzień u wszystkich pacjentów, niezależnie od objętości przyjętej dawki czy pominięcia tej dawki), dodawanej do terapii konwencjonalnej (I);
- wnioskowaną technologię porównano z brakiem leczenia przyczynowego (z uwagi na fakt, iż pegcetakoplan stanowi przełomowe leczenie dla populacji o niezaspokojonych potrzebach komparator stanowi najlepsza opieka wspomagająca [ang. *best supportive care*, BSC] rozumiana jako brak zastosowania pegcetakoplanu i stosowanie m.in. inhibitorów układu renina-angiotensyna, kortykosteroidów, leków cytotoksycznych i/lub leków immunosupresyjnych);
- opierając się na wynikach Analizy klinicznej [41] w opracowaniu uwzględniono różnice między wnioskowaną technologią a komparatorem w zakresie stopnia redukcji proteinurii (uwzględnionej jako wyższe prawdopodobieństwa przejść do stanów z niższym stopniem proteinurii, definiowanych wg stosunku białka do kreatyniny w moczu [ang. *urine Protein-to-Creatinine Ratio*, uPCR]) i związanymi z nim efektami pod postacią: zmiany progresji przewlekłej choroby nerek (poprzez zmianę tempa spadku szacowanego współczynnika filtracji kłębuszkowej [ang. *Estimated Glomerular Filtration*, eGFR] i tempa progresji do bardziej zaawansowanych stanów wg klasyfikacji

przewlekłych chorób nerek, ang. *Chronic Kidney Disease*, CKD) [75], [77], [82], [83], [84], [85], [86] i zmiany prawdopodobieństwa stabilizacji choroby (brak zmiany eGFR u pacjentów z silnie kontrolowaną proteinurią) i jej późniejszego nawrotu [75], [79], co kolei związane było pośrednio ze zmianą ryzyka wystąpienia schyłkowej niewydolności nerek (ang. *end-stage renal disease*, ESRD), konieczności przeprowadzenia dializoterapii, przeprowadzenia przeszczepu nerki, a także: wystąpienia zgonu (z przyczyn związanych z chorobą nerek lub z przyczyn sercowo-naczyniowych), udaru, niewydolności serca i zawału mięśnia sercowego [93], [99]. W niniejszej analizie uwzględniono jedynie konsekwencje kosztowe różnicy w efektywności klinicznej porównywanych interwencji określone na podstawie wyników modelu Analizy ekonomicznej [104] (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 pegcetakoplanu 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 [104].

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

Firma Swedish Orphan Biovitrum Sp. z o.o. wnioskuje o objęcie refundacją produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w ramach części B Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych („Leki dostępne w ramach programu lekowego”) co umożliwi jego stosowanie w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi [40].

Wnioskowana technologia zarejestrowana jest do stosowania we wnioskowanym wskazaniu [57] i nie jest obecnie finansowana ze środków publicznych w Polsce w tym wskazaniu [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 chwili obecnej wnioskowana technologia finansowana jest ze środków publicznych w innym programie lekowym (B.96.) w leczeniu chorych z napadową nocną hemoglobinurią [37]. Stosowanie

wnioskowanej technologii nie jest finansowane ze środków publicznych w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, tym samym pacjenci z analizowanej populacji nie mają możliwości stosowania pegcetakoplanu.

Analizowany problem decyzyjny dotyczył rozszerzenia zakresu wskazań, w których wnioskowana technologia jest objęta refundacją. Na tej podstawie uznano, że refundacja w istniejącej grupie „1286.0, Pegcetakoplan” zgodna jest z zapisami art. 15 ust. 2 i 3 ustawy o refundacji [30]. 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 oraz 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 przypadku wnioskowanej technologii i tej samej technologii w grupie limitowej „1286.0, Pegcetakoplan” nie istnieją różnice w: nazwie międzynarodowej, mechanizmie działania, drodze podawania i postaci farmaceutycznej. Różnica dotyczy wyłącznie wskazania do objęcia refundacją. Co więcej, wnioskowana technologia nie posiada odpowiednika refundowanego, nie ma refundowanej opcji terapeutycznej w analizowanym wskazaniu w Polsce oraz posiada udowodnioną przewagę kliniczną nad leczeniem konwencjonalnym dostępnym w Polsce (na podstawie wyników badania VALIANT [54]).

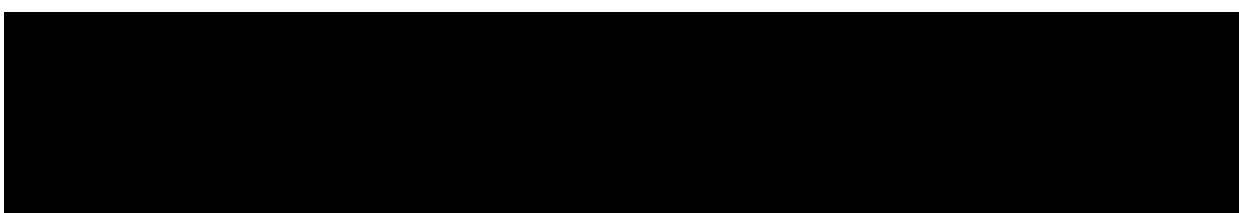
Biorąc pod uwagę brzmienie art. 15 ust. 2 ww. ustawy należy zauważyć, iż odnosi się on do tych samych wskazań lub przeznaczeń leku, natomiast wnioskowane wskazanie leku Aspaveli® jest inne niż wskazania obecnie refundowane. Jednak w świetle ustalenia przez Ministra Zdrowia nazwy grupy limitowej nieodnoszącej się do nazwy choroby, a opartej o typ leków, art. 15 ust. 2 należy interpretować właśnie w świetle nazwy nadanej grupie limitowej 1286.0 przez Ministra Zdrowia.

Zaobserwowano, że refundacja wnioskowanej technologii w nowej, osobnej grupie limitowej (jako lek innowacyjny, nieposiadający odpowiedników w analizowanym wskazaniu, w myśl Ustawy o refundacji [30]) byłaby związana z takimi samymi oficjalnymi cenami i skutkami finansowymi dla płatnika publicznego, jak refundacja wnioskowanej technologii w istniejącej grupie limitowej „1286.0,

Pegcetakoplan” – w obydwu przypadkach limit finansowania wnioskowanej technologii będzie na poziomie jej ceny hurtowej. Tym samym uznano, że decyzja dotycząca grupy limitowej w ramach sposobu refundacji wnioskowanej technologii nie będzie miała wpływu na wyniki niniejszej analizy i aspekt ten nie był testowany w ramach analizy wrażliwości.

Przyjęto, że kalkulacja limitu finansowania we wnioskowanej grupie limitowej uwzględniać będzie aktualnie obowiązujące zasady w grupie „1286.0, Pegcetakoplan”.

Zgodnie z art. 14 ustawy o refundacji [30] założono, że wnioskowana technologia będzie wydawana pacjentowi bezpłatnie.



Zgodnie ze specyfikacją wnioskowanego produktu leczniczego [57] oraz sposobem rozliczania substancji czynnej w ramach programów lekowych w analizie uwzględniono rozliczenia z NFZ pełnych fiolek leku. Przyjęto, że NFZ będzie finansował ze środków publicznych każdą wydaną fiolkę wnioskowanej technologii.

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

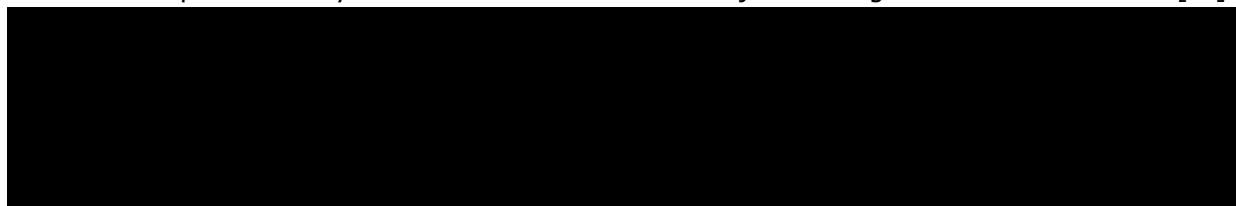
Tabela 1. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.

Aspekt	Wartość
Wnioskowana technologia	
Nazwa handlowa	Aspaveli®
Substancja czynna	<i>Pegcetacoplanum</i>
Kod ATC	L04AJ03 [33]
Data pozwolenia dopuszczenia do obrotu	13/12/2021
Postać farmaceutyczna	Roztwór do infuzji, 54 mg/ml
Zawartość opakowania	• 1 fiol. 20 ml • 8 fiol. 20 ml
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	„1286.0, Pegcetakoplan”

Aspekt	Wartość
Poziom odpłatności świadczeniobiorcy	Bezpłatny (art. 14 ustawy [30])
Proponowane ceny zbytu netto	
Proponowany RSS	

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

Wnioskowaną technologię stanowiło stosowanie produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan,) w dawce zgodnej z Charakterystyką produktu leczniczego [57]. Dawkowanie wnioskowanej technologii określono na podstawie: wyników badania VALIANT oraz zarejestrowanego schematu dawkowania [57].



Pegcetakoplan jest stosowany jako leczenie dodane do leczenia konwencjonalnego (BSC). W modelu przyjęto, że leczenie pegcetakoplanem może zostać przerwane w każdym cyklu zgodnie z założonym odsetkiem przerw terapii. Przyjęto stosowanie pegcetakoplanu u wszystkich żyjących pacjentów z wyjątkiem pacjentów dializowanych, u których nie oczekuje się klinicznej korzyści z obniżenia uPCR oraz pacjentów ze stabilną chorobą, którzy ze względu na poprawę wyników zdrowotnych mogą odstawić pegcetakoplan.

Przeszczepienie nerki zamodelowano jako zdarzenie prowadzące do poprawy zarówno stadium CKD, jak i poziomu uPCR. W przypadku pacjentów po przeszczepieniu kontynuowano leczenie pegcetakoplanem, o ile pacjent nie przerwał terapii przed przeszczepem.

W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet uwzględniono średnie niezdyskontowane zużycie wnioskowanej technologii na cykl 3-miesięczny w przeliczeniu na pacjenta rozpoczynającego leczenie w pierwszym roku, określone na podstawie modelu analizy ekonomicznej [104] w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia leczenia (por. arkusz „BIA_data” modelu). Wszystkie wyniki analizy ekonomicznej [104] 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 Aspaveli® 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 [104] 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 Aspaveli® (pegcetakoplan) we wnioskowanym wskazaniu w ramach scenariusza nowego (przy założeniu pozytywnej decyzji Ministra Zdrowia dotyczącej objęcia refundacją wnioskowanej technologii w ramach programu lekowego).

- 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 3-miesięcznym w horyzoncie 3 lat od inicjalizacji programu.



19

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 Aspaveli® (pegcetakoplan) 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 Aspaveli® 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 pegcetakoplanu ze środków publicznych w ramach proponowanego programu lekowego) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych („nowy scenariusz” zakładający realizację proponowanego 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 w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi [37]. Przy braku refundowanej alternatywy, pacjenci w chwili obecnej stosują przede wszystkim samo leczenie konwencjonalne (BSC), które nie zapewnia pełnej kontroli choroby.

Tym samym jako komparator dla wnioskowanej technologii uwzględniono kontynuację leczenia konwencjonalnego (BSC).

Strukturę BSC określono na podstawie danych z badania VALIANT – uwzględniono najczęściej stosowane terapii towarzyszące: inhibitory ACE lub antagoniści receptora angiotensyny II (ACEi/ARB); leki immunosupresyjne; glikokortykosteroidy ogólnoustrojowe; inhibitory SGLT2.

Tabela 2. Odsetek wykorzystania poszczególnych składników BSC w badaniu VALIANT.

	Faza otwarta*	Faza kontrolowana
ACEi/ARB		
leki immunosupresyjne		
glikokortykosteroidy ogólnoustrojowe		
inhibitory SGLT2		

* dane uwzględnione w analizie podstawowej; brak wpływu na wyniki ze względu na uwzględnienie BSC w obydwu porównywanych grupach chorych (pegcetakoplan vs placebo)

Przy ocenie kosztu BSC uwzględniono refundowane substancje czynne należące do ww. grup (kwas mykofenolowy, azatiopryna, dapagliflozyna, lizynopryl, losartan, mykofenolan mofetylu, prednisolon, ramipryl, takrolimus) [37], które są najczęściej stosowane w leczeniu pacjentów z analizowanej populacji wg założeń modelu oryginalnego.

Opierając się na informacjach przedstawionych dla chorych na nefropatię IgA, których liczebność oceniana była w analogiczny sposób jak przedstawiono powyżej [73], w ramach nowego scenariusza uwzględniono stosowanie wnioskowanej technologii tylko u części pacjentów. Poza wskazanymi w opisie programu lekowego kryteriami zastosowania wnioskowanej technologii (diagnoza C3G/IC-MPGN; wiek >11 lat; uPCR $\geq$ 1; szybka progresja; eGFR $\geq$ 30 ml/min/1,73 m², co przekłada się w przybliżeniu na stan CDK<4) istnieje szereg aspektów, które u poszczególnych pacjentów będą wpływały na możliwość zastosowania wnioskowanej technologii. Dotyczy to zarówno aspektów klinicznych (brak wyników aktualnej biopsji nerek, zmiany przewlekłe nerek – zwłóknienia kłębuszków, współwystępowanie innych chorób), zastosowanego leczenia jak i aspektów administracyjnych (realizacja programu lekowego w ośrodku, do którego uczęszcza pacjent).

Powyższe aspekty sprawiają, że wnioskowana technologia nie zostanie zastosowana u wszystkich pacjentów od razu. Spodziewać się można stopniowego wzrostu liczebności populacji pacjentów leczonych w programie do momentu aż włączani do niego będą wyłącznie pacjenci z rozpoznaniem w

roku rozpoczęcia leczenia (tj. tylko pacjenci z kohorty zapadalnościowej). U niektórych pacjentów z kohorty chorobowościowej będzie konieczność ponowienia biopsji nerki, a niektórzy będą oczekiwać na podpisanie kontraktu z NFZ przez ośrodek, w którym objęci są leczeniem.

Zgodnie z założeniami Analizy ekonomicznej [104] 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 [104] 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 Aspaveli® obejmuje:

- leczenie dorosłych pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią, u których występuje niedokrwistość hemolityczna;
- leczenie pacjentów dorosłych i młodzieży w wieku od 12 do 17 lat z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplelowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi w skojarzeniu z inhibitorem układu renina-angiotensyna (ang. *renin-angiotensin system*, RAS), z wyjątkiem przypadków, w których leczenie inhibitorem RAS nie jest tolerowane lub jest przeciwwskazane [57].

Aktualnie wnioskowana technologia finansowana jest ze środków publicznych w Polsce w obrębie pierwszego zarejestrowanego wskazania [37]; wnioskowane wskazanie dotyczy drugiego zarejestrowanego wskazania.

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 VALIANT [54] 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 VALIANT.

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 3. Charakterystyki wejściowe pacjentów z analizowanej populacji.

	Wartość	
Średni wiek, lata	25,97	
Masa ciała, kg	63,09	
Odsetek mężczyzn	43,55%	
Wejściowy rozkład stanów CKD	CKD 1	
	CKD 2	
	CKD 3	

	Wartość	
	CKD 4	CKD 5
Wejściowy rozkład stanów uPCR		
Wejściowy rozkład stanów uPCR	< 1g/g	
	1-3 g/g	
	>3 g/g	

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 [104].

Wykorzystano wyniki modeli Analizy ekonomicznej [104] 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])

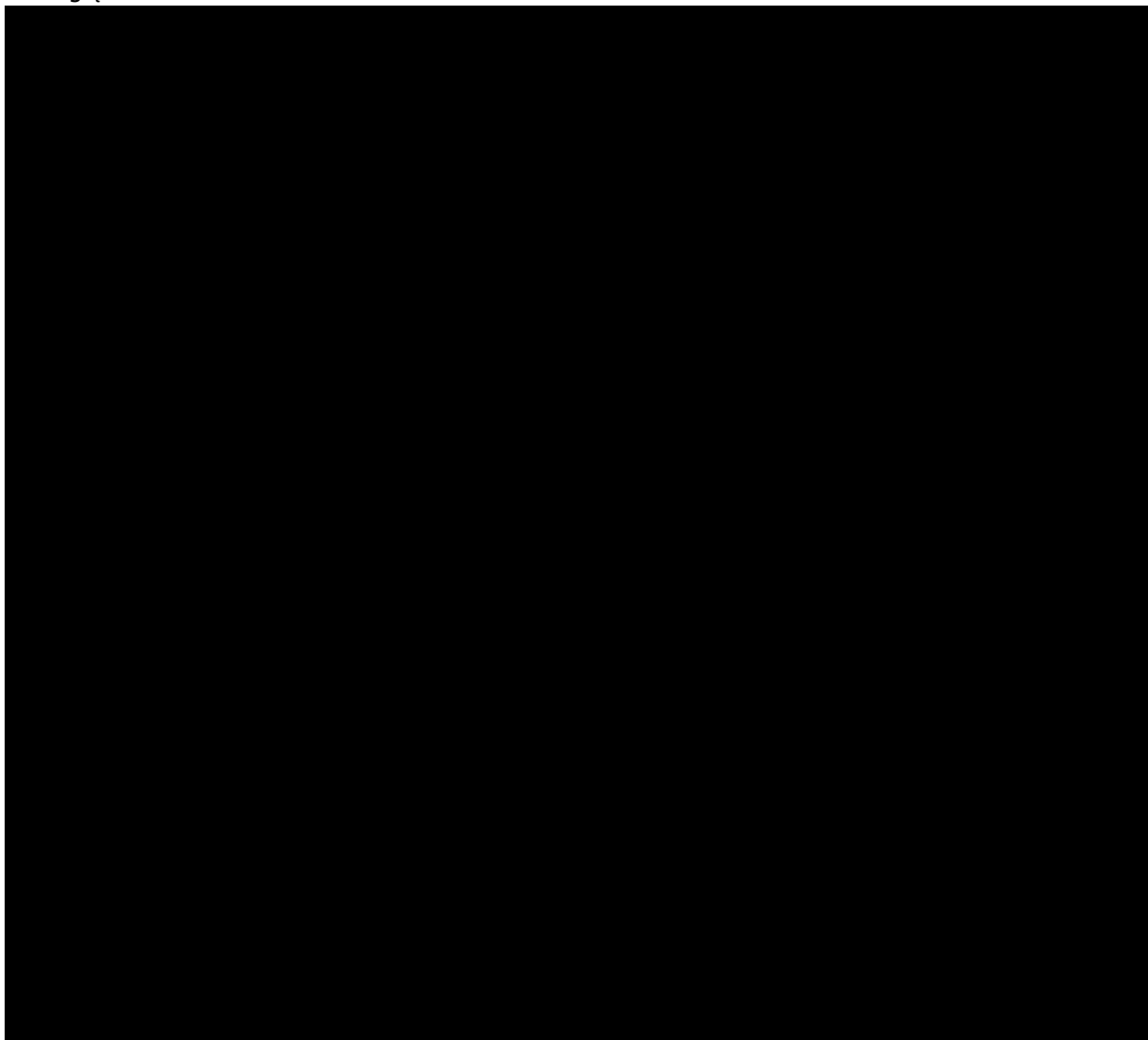
W ramach niniejszej analizy uwzględniono pacjentów w stanie klinicznym zgodnym z wnioskowanym wskazaniem oraz zarejestrowanym wskazaniem do stosowania leku Aspaveli® [57].

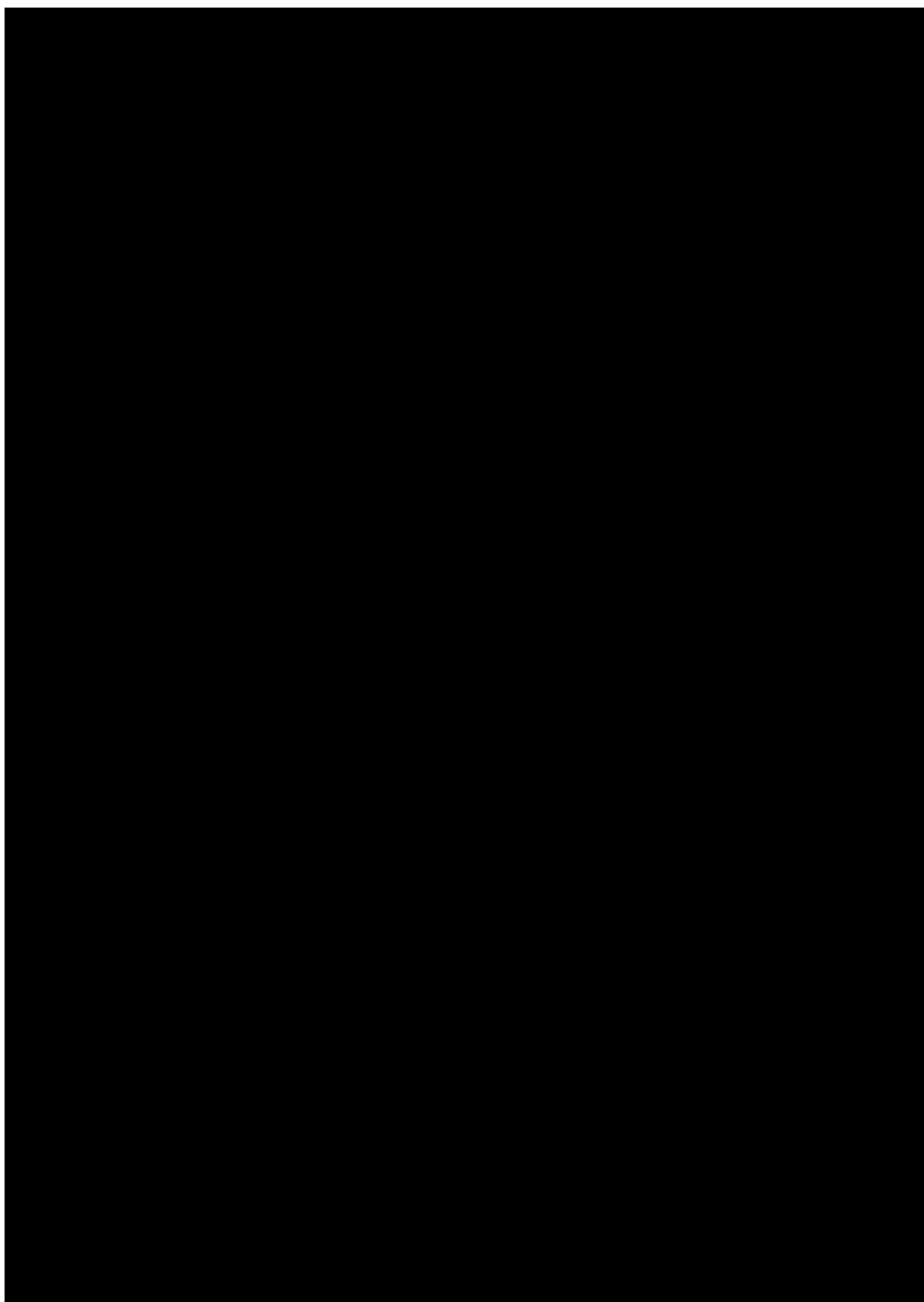
W obliczeniach pominięto ocenę liczebności teoretycznej populacji pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią, u których występuje niedokrwistość hemolityczna, która mogłaby stosować wnioskowaną technologię. Wnioskowana technologia jest objęta refundacją w leczeniu pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią od 2023 roku i na tej podstawie można sądzić, że została zastosowana u wszystkich pacjentów z Polski, u których jest wskazana (18 pacjentów w 2024 roku [48]; 19 pacjentów w I połowie 2025 roku [78]; łącznie 22 pacjentów w całym 2025 roku [101]).

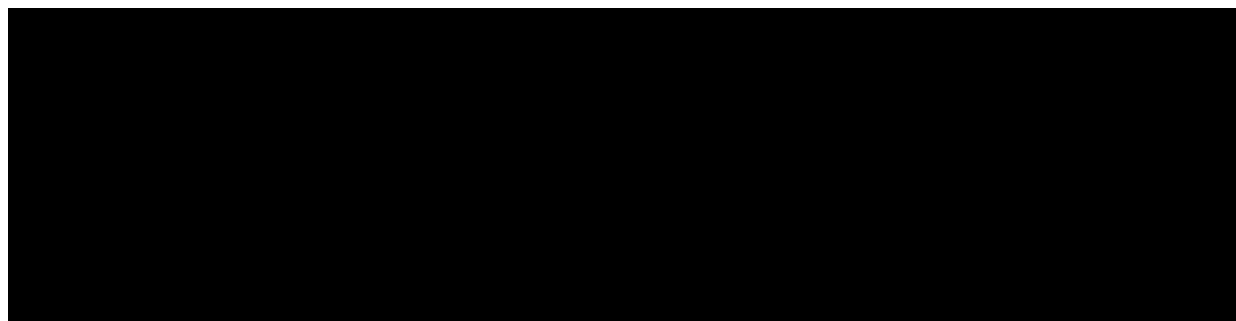
Tym samym uznano, że liczebność populacji chorych z napadową nocną hemoglobinurią spełniająca kryteria zastosowania wnioskowanej technologii (zgodnie z § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a rozporządzenia [3] oraz § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. c rozporządzenia [3]) wynosi 18-22 pacjentów rocznie.

W ramach niniejszego opracowania przeprowadzono wielokierunkową ocenę tylko liczebności populacji pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku refundacyjnym (pacjentów z C3G/IC-MPGN).

Uwzględniono:







Zgodnie z wnioskowanym wskazaniem uwzględniono możliwość zastosowania leku Aspaveli® w leczeniu C3G/IC-MPGN wśród pacjentów rozpoznanych w danym roku oraz w poprzedzających latach (dane typu chorobowość).

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])

Nie są dostępne szczegółowe informacje na temat epidemiologii C3G/IC-MPGN w Polsce.

Analogicznie jak w przypadku analizy dotyczącej nefropatii IgA [74], w ramach niniejszej analizy zapadalność i chorobowość C3G/IC-MPGN określono na podstawie wyników badania Perkowska-Ptasinska 2017 [70].

Badanie Perkowska-Ptasińska 2017 [70] pozwoliło na ocenę zachorowalności i chorobowości C3G/IC-MPGN na podstawie liczby przeprowadzonych biopsji nerki w Polsce. Tym samym w ramach analizy podstawowej liczebność populacji docelowej dla wnioskowanej technologii oszacowano wychodząc od rocznej liczby biopsji nerek.

W badaniu Perkowska-Ptasińska 2017 [70] oceniono biopsje nerek wykonywane ze średnią częstotliwością na poziomie 40 procedur na milion mieszkańców, na rok. Zaobserwowano istotny wzrost liczby przeprowadzanych biopsji nerek między 2009 a 2014 rokiem ($p=0,004$; rysunek poniżej).

[Redacted text block]

[Redacted text line]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text line]

[Redacted text line]

Nie zaobserwowano istotnego trendu zmian liczby przeprowadzanych biopsji nerki w Polsce w latach 2009 – 2024 ($p=0,713$), w latach 2015-2024 ($p=0,732$) i w latach 2015-2023 ($p=0,744$; pomijając potencjalne błędy przy raportowaniu ostatniego roku dostępnego w [48]).

Na podstawie przedstawionych powyżej informacji uznano, że wskaźnik przeprowadzania biopsji nerki raportowany dla 2014 roku w badaniu Perkowska-Ptasińska 2017 [70] (44 biopsje na milion osób na rok) będzie reprezentatywny dla oceny liczby pacjentów z C3G/IC-MPGN w Polsce.

Ww. wskaźnik wskazuje na 1 650 biopsji nerki rocznie przy uwzględnieniu liczebności populacji Polski na poziomie 37 489 087 osób [34].

W badaniu Perkowska-Ptasińska 2017 [70] wskaźnik występowania C3G/IC-MPGN wynosił 4,6% ($n=306$) biopsji nerki wśród dorosłych pacjentów, co przy uwzględnieniu 10,1% ponownych biopsji (951 z 9394) oraz 20,6% biopsji w populacji pediatrycznej (1939 z 9394) pozwala określić ogólny wskaźnik występowania C3G/IC-MPGN na około [REDACTED]

[REDACTED] Jest to wskaźnik zapadalności który można uwzględnić przy kalkulacji wskaźników chorobowości, jeżeli dostępne są informacje na temat oczekiwanej średniej długości przeżycia chorych od diagnozy [65], [69].

Przy braku tak dokładnych danych w ramach niniejszego opracowania, w ramach niniejszej analizy uwzględniono iloraz wskaźnika chorobowości i wskaźnika zapadalności określono na podstawie danych epidemiologicznych dla C3G/IC-MPGN z innych krajów europejskich. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wśród ww. pacjentów tylko część spełnia kryteria kwalifikacji do leczenia Aspaveli®.

[REDACTED]

Tabela 4. Kryterium zastosowania Aspaveli wśród pacjentów z C3G/IC-MPGN – opublikowane dane.

	Polska [70]	Finlandia [71]	UK [72]	UK [75] po 6 mies.	Japonia [76]	Hiszpania [77]
1) eGFR ≥ 30 ml/min/1,73 m ²	[REDACTED]					
2) białkomocz: UPCR ≥ 1 lub 1 g/dobę u pacjentów dorosłych lub 15mg/kg/dobę u pacjentów pediatrycznych						
3) niepowodzenie leczenia standardowego						
4) szybko-postępująca postać: spadek eGFR o $\geq 25\%$ na rok lub ≥ 5 ml/min/1,73 m ² /rok						

[illegible]

[REDACTED]

Uwzględniając ww. aspekty ustalono, że docelowo do proponowanego programu lekowego kwalifikować się będzie około [REDACTED] iloczyn dwóch parametrów docelowego wykorzystania Aspaveli® przedstawionych powyżej).

Tym samym liczebność docelowej populacji chorych dla wnioskowanej technologii (§ 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a rozporządzenia [3]) została określona na [REDACTED]

Liczebność populacji chorych z napadową nocną hemoglobinurią spełniającą kryteria zastosowania wnioskowanej technologii (zgodnie z § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a rozporządzenia [3] oraz § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. c rozporządzenia [3]) wynosi 18-22 pacjentów rocznie [48], [78], [101].

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 liczebność docelowej populacji chorych dla wnioskowanej technologii (§ 6 ust. 1 pkt. 1 lit. b rozporządzenia [3]) została określona na poziomie [REDACTED]

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

Wnioskowana technologia nie jest finansowana ze środków publicznych we wnioskowanym wskazaniu [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 pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplamowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, którzy mogą stosować wnioskowaną technologię w horyzoncie czasowym analizy wynosi 0 pacjentów rocznie (§ 6 ust. 1 pkt. 1 lit. c rozporządzenia [3]).

Liczebność populacji chorych z napadową nocną hemoglobinurią spełniającą kryteria zastosowania wnioskowanej technologii (zgodnie z § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a rozporządzenia [3] oraz § 6 ust. 1 pkt. 1 lit. c rozporządzenia [3]) wynosi 18-22 pacjentów rocznie [48], [78], [101].

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.

Na tej podstawie przyjęto założenie, że osiągnięcie docelowej liczby pacjentów włączanych do programu będzie stopniowe i przed osiągnięciem stanu równowagi rynkowej (a więc w 1. roku; por. rozdział 2.3.)

[REDACTED]

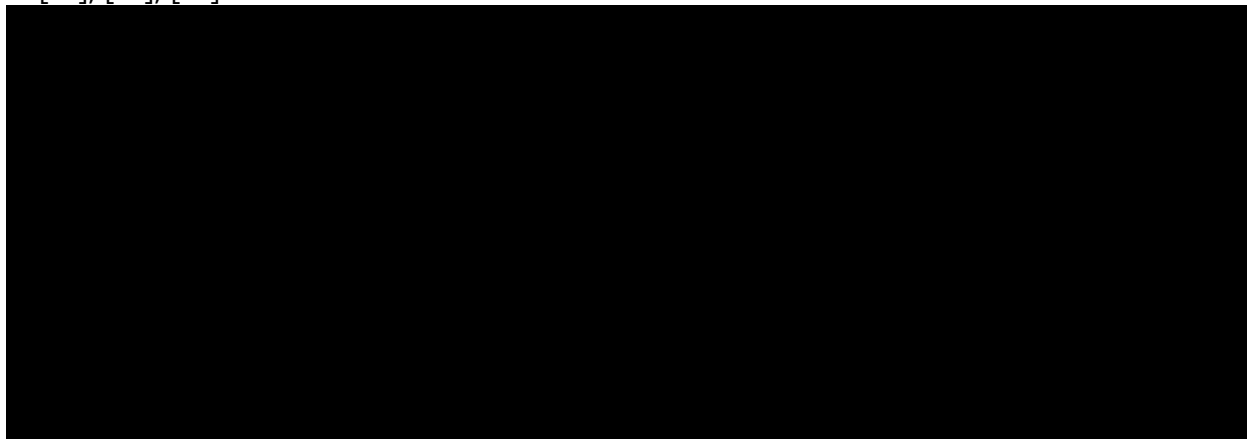
Określono tym samym liczbę chorych rozpoczynających leczenie pegcetakoplanem w przypadku realizacji proponowanego programu lekowego wyniosła:

[REDACTED]

Stosunkowo szerokie zakresy niepewności liczebności populacji docelowej określonej na podstawie danych epidemiologicznych wynikały z uwzględnienia całego zakresu niepewności wszystkich parametrów niepewnych. Z tej przyczyny wyniki skrajnych wariantów analizy cechują się bardzo niskim prawdopodobieństwem wystąpienia ($\leq 2,5\%$ dla każdego parametru).

[REDACTED]

W ramach analizy wrażliwości testowano pozostałe warianty oceny liczebności populacji docelowej – obliczenia na podstawie opinii ekspertów klinicznych lub wskaźników epidemiologicznych z innych krajów [70], [71], [72]. Testowano również:



W opracowaniu uwzględniono włączanie pacjentów do programu z takim samym prawdopodobieństwem w każdym kwartale danego roku (jednostajnie w roku).

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

Populacja wg [3]	C3G/IC-MPGN		Napadowa nocna hemoglobinuria
	Rok 1.	Rok 2.	Rocznie
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. a (populacja zgodna z zarejestrowanym wskazaniem)			
art. 6 ust. 1 pkt. 1 lit. b (populacja wskazana we wniosku)			
art. 6 ust. 1 pkt. lit. c (populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana)			
art. 6 ust. 1 pkt 2 (liczba rozpoczynających leczenie 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.

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

Dane kosztowe zebrano w lutym 2026 roku i zaktualizowano w lipcu 2026 roku (stan na 31 lipca 2026 roku).

W opracowaniu uwzględniono analogiczne założenia i dane wejściowe dla kosztów, jak w przypadku Analizy ekonomicznej [104]. Informacje na temat sugerowanego sposobu finansowania wnioskowanej technologii ze środków publicznych przedstawiono w rozdziale 2.1. niniejszego opracowania.

Na podstawie wyników modeli analizy ekonomicznej [104] 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.).

Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi.
 Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 6. Koszty i zużycie zasobów medycznych na cykl 3-miesięczny w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia stosowania porównywanych interwencji w przeliczeniu na 1 standardowego pacjenta rozpoczynającego leczenie. Wyniki modelowania [104].

Rok	Nr cyklu 3-miesięcznego	% leczonych na początku cyklu	Fiolki Aspaveli®	Koszt programu	Koszt leków z BSC		Pozostałe koszty	
					Aspaveli®	Samo BSC	Aspaveli®	Samo BSC
1	1							
1	2							
1	3							
1	4							
2	5							
2	6							
2	7							
2	8							



Koszt pozostałych leków (kwas mykofenolowy, azatiopryna, dapagliflozyna, lizynopryl, losartan, mykofenolan mofetylu, prednisolon, ramipryl, takrolimus) określono na poziomie średniego kosztu jednostkowego leków refundowanych [37] ważonego rynkiem sprzedaży w 2026 roku [49].

Koszt opieki medycznej oraz koszt powikłań C3G/ IC-MPGN określono na podstawie dostępnych źródeł danych dotyczących kosztu w warunkach polskich – uwzględniono zarówno wyniki badań kosztów choroby jak i założenia opublikowanych analiz ekonomicznych [66], [67], [68]. Dane historyczne zaktualizowano do cen z 2026 roku uwzględniając wskaźniki cen towarów i usług konsumpcyjnych [56]. Dane z innych krajów (wariant analizy wrażliwości uwzględniający koszt opieki medycznej w stanach na podstawie [52]) poddano konwersji do PLN z wykorzystaniem danych dotyczących współczynników konwersji PPP [55] i zaktualizowano do cen z 2026 roku uwzględniając wskaźniki cen towarów i usług konsumpcyjnych [56].

Szczegóły przedstawiono w Analizie ekonomicznej [104]. Parametry wykorzystane w Analizie ekonomicznej przedstawiono poniżej.

Tabela 7. Parametry i założenia modelu Analizy ekonomicznej [104].

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)		Źródło
Cena wnioskowanej technologii	Istniejąca grupa limitowa „1286.0, Pegcetakoplan”, brak odpłatności pacjenta		Wniośko dawca
Dawkowanie wnioskowanej technologii	2 fiołki na tydzień do dyskontynuacji		Charakter ystyka produktu leczniczeg o [57]
Ryzyko dyskontynuacji	na cykl		VALIANT
Struktura leczenia konwencjonal nego (BSC)	Faza otwarta badania		VALIANT
	ACEi/ARB		
	leki immunosupresyjne		
	glikokortykosteroidy ogólnoustrojowe		
	inhibitory SGLT2		
Wejściowa charakterystyk a pacjentów	Wartość		VALIANT
	Średni wiek, lata	25,97	
	Masa ciała, kg	63,09	

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)		Źródło		
	Odsetek mężczyzn	43,55%			
	Wejściowy rozkład stanów CKD	CKD 1			
		CKD 2			
		CKD 3			
CKD 4					
CKD 5					
Wejściowy rozkład stanów uPCR	< 1g/g				
	1-3 g/g				
	>3 g/g				
Prawdopodobieństwa przejść pomiędzy stanami uPCR	Do stanu: Ze stanu:	uPCR <1,0	uPCR 1,0-3,0	uPCR >3	VALIANT
	BSC				
	uPCR <1,0				
	uPCR 1,0-3,0				
	uPCR >3				
	uPCR <1,0				
	uPCR 1,0-3,0				
	uPCR >3				
Spadek eGFR	Leczenie / poziom uPCR	Pegcetacoplan	Placebo / BSC		VALIANT, założenia
	uPCR <1,0				
	uPCR 1,0-3,0				
	uPCR >3				
Prawdopodobieństwo wystąpienia stabilizacji choroby					VALIANT, założenia, [79]
Ryzyko nawrotu choroby	7,69% na cykl				[79]
% hemodializ	95,60%				[53]
Prawdopodobieństwo przeszczepu					Dane z UK, model oryginalny

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)					Źródło	
Przeżycie przeszczepu	95,32%					Pruett 2021 [87]	
Wyniki zdrowotne przeszczepu nerki						Pruett 2021 [87], założenia, VALIANT	
			Udział po przeszczepie				
	CKD						
	1						
	2						
	3						
	4						
	5						
	uP						
	<1.0						
	1.0 - 3.0						
	>3.0						
Konsekwencja „zaoszczędzonej nerki”	Dodatkowe QALY = 2,31 Oszczędności = 0					Axelrod et al. 2018 [89], założenia	
Bazowe ryzyko zdarzeń sercowo naczyniowych na cykl	Kategoria wieku	Udar mózgu [95]	Niewydolność serca [96]	Zgon sercowo-naczyniowy [97]	Zawał mięśnia sercowego [98]	[95], [96], [97], [98]	
	0-4						
	5-9						
	10-14						
	15-19						
	20-24						
	25-29						
	30-34						
	35-39						
	40-44						
	45-49						
	50-54						
	55-59						
	60-64						
	65-69						
	70-74						
	75-79						
	80-84						
	85-89						
	90-95						
	95-99						
	100-104						

Parametr(u) / założenie	Wartość parametru(ów)	Źródło																																										
Wpływ stanów na ryzyko zdarzeń sercowo-naczyniowych	<table><tr><th>Stadium CKD</th><th>HR</th></tr><tr><td colspan="2">Udar mózgu</td></tr><tr><td>CKD1</td><td rowspan="8"></td></tr><tr><td>CKD2</td></tr><tr><td>CKD3</td></tr><tr><td>CKD4</td></tr><tr><td>CKD5</td></tr><tr><td>Hemodializa</td></tr><tr><td>Dializa otrzewnowa</td></tr><tr><td colspan="2">Niewydolność serca</td></tr><tr><td>CKD1</td><td rowspan="8"></td></tr><tr><td>CKD2</td></tr><tr><td>CKD3</td></tr><tr><td>CKD4</td></tr><tr><td>CKD5</td></tr><tr><td>Hemodializa</td></tr><tr><td>Dializa otrzewnowa</td></tr><tr><td colspan="2">Zgon sercowo-naczyniowy</td></tr><tr><td>CKD1</td><td rowspan="8"></td></tr><tr><td>CKD2</td></tr><tr><td>CKD3</td></tr><tr><td>CKD4</td></tr><tr><td>CKD5</td></tr><tr><td>Hemodializa</td></tr><tr><td>Dializa otrzewnowa</td></tr><tr><td colspan="2">Zawał mięśnia sercowego</td></tr><tr><td>CKD1</td><td rowspan="8"></td></tr><tr><td>CKD2</td></tr><tr><td>CKD3</td></tr><tr><td>CKD4</td></tr><tr><td>CKD5</td></tr><tr><td>Hemodializa</td></tr><tr><td>Dializa otrzewnowa</td></tr></table>	Stadium CKD	HR	Udar mózgu		CKD1		CKD2	CKD3	CKD4	CKD5	Hemodializa	Dializa otrzewnowa	Niewydolność serca		CKD1		CKD2	CKD3	CKD4	CKD5	Hemodializa	Dializa otrzewnowa	Zgon sercowo-naczyniowy		CKD1		CKD2	CKD3	CKD4	CKD5	Hemodializa	Dializa otrzewnowa	Zawał mięśnia sercowego		CKD1		CKD2	CKD3	CKD4	CKD5	Hemodializa	Dializa otrzewnowa	Matsushita 2015 [93]
	Stadium CKD	HR																																										
	Udar mózgu																																											
	CKD1																																											
	CKD2																																											
	CKD3																																											
	CKD4																																											
	CKD5																																											
	Hemodializa																																											
	Dializa otrzewnowa																																											
	Niewydolność serca																																											
	CKD1																																											
	CKD2																																											
	CKD3																																											
	CKD4																																											
	CKD5																																											
	Hemodializa																																											
	Dializa otrzewnowa																																											
	Zgon sercowo-naczyniowy																																											
	CKD1																																											
	CKD2																																											
	CKD3																																											
	CKD4																																											
	CKD5																																											
	Hemodializa																																											
	Dializa otrzewnowa																																											
	Zawał mięśnia sercowego																																											
	CKD1																																											
	CKD2																																											
	CKD3																																											
	CKD4																																											
	CKD5																																											
Hemodializa																																												
Dializa otrzewnowa																																												

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

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 [104], 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 [104].

Wykorzystano wyniki modelu analizy ekonomicznej [104] 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 8 cykli 3-miesięcznych modelu analizy ekonomicznej [104] oznaczono jako $Z_k = Z_1, Z_2, \dots, Z_8$).

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 = 8 cykli; $P_i = P_1, P_2, \dots, P_8$) określono sumaryczny koszt/zużycie zasobu wśród wszystkich chorych zgodnie z algorytmem:

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

$$\sum_{i=1}^4 \left(P_i \times \sum_{k=1}^{4-i} Z_k \right)$$

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

$$\sum_{i=1}^4 \left(P_i \times \sum_{k=4-i+1}^{8-i} Z_k \right)$$

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

$$\sum_{i=5}^8 \left(P_i \times \sum_{k=1}^{8-i+1} Z_k \right)$$

Gdzie: i oznacza numer cyklu horyzontu czasowego analizy wpływu na budżet (cykl = 1/4 roku), a k – numer cyklu modelu analizy ekonomicznej [104].

Każdy pacjent włączany do analizy wpływu na budżet generował koszt określony na podstawie modelu analizy ekonomicznej [104] od momentu włączenia do analizy wpływu na budżet (pierwszego cyklu modelu analizy ekonomicznej [104], tj. $k = 1$) do końca horyzontu czasowego obserwacji analizy

wpływu na budżet (tj. odpowiadającemu cyklowi analizy ekonomicznej: $k = 8 - \text{nr cyklu włączenia do BIA} + 1$).

Szczegóły przedstawiono w arkuszu „BIA_data” 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.).

Tabela 8. Charakterystyka wariantów liczebności populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.

	Wariant prawdopodobny	Wariant minimalny	Wariant maksymalny
Liczba chorych na C3G lub IC-MPGN żyjąca w Polsce			
% kwalifikujących się do leczenia Aspavel® (docelowe wykorzystanie)			
Odsetek pacjentów zdiagnozowanych, objętych opieką, niewymagających ponownej biopsji i wymagających leczenia w danym momencie (brak lub utrata skuteczności standardowego leczenia w danym momencie)			
% docelowego wykorzystania w 1. roku refundacji			

Bezpośrednie dane wejściowe z zakresu kosztów i zużycia zasobów medycznych (m.in. długości stosowania leków, średnie koszty) zostały szczegółowo opisane w Analizie ekonomicznej [104] – 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 9. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.

Nr	Opis scenariusza analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 00	Analiza podstawowa		prawdopodobny
SA 01			minimalny
SA 02			maksymalny
SA 03	Liczebność: Wariant 1. Obliczenia na podstawie danych z innych krajów [71]-[73]		prawdopodobny
SA 04			minimalny
SA 05			maksymalny
SA 06	Liczebność: Wariant 3. Obliczenia na podstawie opinii ekspertów klinicznych (eksperti 2-5)		prawdopodobny
SA 07			minimalny
SA 08			maksymalny
SA 09	Liczebność: Średnia z wariantu 1 i 2		prawdopodobny
SA 10			minimalny
SA 11			maksymalny
SA 12	Obliczenia na poziomie pełnych danych epidemiologicznych (100% diagnozowanych, 100% leczonych i 100% wymagających leczenia)		prawdopodobny
SA 13			minimalny
SA 14			maksymalny
SA 15	Odsetek pacjentów zdiagnozowanych, objętych opieką i niewymagających ponownej biopsji = biopsja w ciągu ostatnich 2 lat = wysoka skuteczność kontroli choroby [75]		prawdopodobny
SA 16			minimalny
SA 17			maksymalny
SA 18	Perspektywa wspólna		prawdopodobny
SA 19	Koszt stanów: opcjonalne źródła	Dane uwzględnione w analizie [68], zaktualizowane do 2026 [56]	prawdopodobny
SA 20		Dane brytyjskie [52], skonwertowane do PLN [55] i zaktualizowane do 2026 [56]	prawdopodobny
SA 21	Koszt MI: opcjonalne źródło	Dane z badania [67], zaktualizowane do 2026 [56]	prawdopodobny
SA 22	Koszt stanów: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 23		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 24	Koszt dializ: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 25		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 26	Koszt przeszczepu: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 27		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 28	Koszt programu lekowego: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 29		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 30	Koszt powikłań, zgonu: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 31		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 32	Koszt opieki standardowej: ±100%	-100% (0 PLN)	prawdopodobny
SA 33		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 34	Charakterystyki (wiek, płeć, masa ciała): 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 35		95% UCI	prawdopodobny
SA 36	Prawdopodobieństwo przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 37		95% UCI	prawdopodobny
SA 38	Prawdopodobieństwo utrzymania przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 39		95% UCI	prawdopodobny

Nr	Opis scenariusza analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 40	% dializowanych pacjentów bez przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 41		95% UCI	prawdopodobny
SA 42	% hemodializ: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 43		95% UCI	prawdopodobny
SA 44	Tempo spadku eGFR - komparator: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 45		95% UCI	prawdopodobny
SA 46	Tempo spadku eGFR - Aspaveli: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 47		95% UCI	prawdopodobny
SA 48	Ryzyko dyskontynuacji Aspaveli: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 49		95% UCI	prawdopodobny
SA 50	Spadek eGFR w stanie stabilizacji choroby: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 51		95% UCI	prawdopodobny
SA 52	Prawdopodobieństwo stabilizacji choroby: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 53		95% UCI	prawdopodobny
SA 54	Czas do nawrotu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 55		95% UCI	prawdopodobny
SA 56	Uwzględnienie dodatkowo oszczędności związanych z zaoszczędzoną nerką		prawdopodobny
SA 57	Pominięcie efektów (QALY) i oszczędności związanych z zaoszczędzoną nerką		prawdopodobny
SA 58	Stabilizacja choroby tylko po 12 miesiącach		prawdopodobny
SA 59	HR zgonu dla stanów CKD: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 60		95% UCI	prawdopodobny
SA 61	HR zgonu dla dializ i przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 62		95% UCI	prawdopodobny
SA 63	HR udaru dla stanów CKD: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 64		95% UCI	prawdopodobny
SA 65	HR udaru dla dializ i przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 66		95% UCI	prawdopodobny
SA 67	HR niewydolności serca dla stanów CKD: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 68		95% UCI	prawdopodobny
SA 69	HR niewydolności serca dla dializ i przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 70		95% UCI	prawdopodobny
SA 71	HR zgonu (choroby serca) dla stanów CKD: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 72		95% UCI	prawdopodobny
SA 73	HR zgonu (choroby serca) dla dializ i przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 74		95% UCI	prawdopodobny
SA 75	HR zawału dla stanów CKD: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 76		95% UCI	prawdopodobny
SA 77	HR zawału dla dializ i przeszczepu: 95% CI	95% LCI	prawdopodobny
SA 78		95% UCI	prawdopodobny
SA 79	Występowanie - udar: $\pm 100\%$	-100% (0; brak)	prawdopodobny
SA 80		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 81	Występowanie - niewydolność serca: $\pm 100\%$	-100% (0; brak)	prawdopodobny
SA 82		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 83	Występowanie - zgon (choroby serca): $\pm 100\%$	-100% (0; brak)	prawdopodobny

Nr	Opis scenariusza analizy wrażliwości		Wariant liczebności
SA 84		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny
SA 85	Występowanie - zawał: $\pm 100\%$	-100% (0; brak)	prawdopodobny
SA 86		+100% (dwukrotnie wyższy)	prawdopodobny

3. WYNIKI ANALIZY WPŁYWU NA BUDŻET

3.1. AKTUALNE WYDATKI Z BUDŻETU PŁATNIKA PUBLICZNEGO

Obecnie produkt leczniczy Aspaveli® nie jest 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.

Produkt leczniczy Aspaveli® refundowany jest w innym wskazaniu i koszt jego stosowania wśród pacjentów z napadową nocną hemoglobinurią wyniósł:

- 16 977 159,25 zł PLN w 2025 roku [102];
- 3 462 924,96 PLN w okresie styczeń – maj 2026 roku [49].

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.

Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym kłębuszkowym zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi.
Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



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

		Nowy scenariusz	Scenariusz istniejący	Zmiana
Całkowite wydatki, bez RSS	Rok 1			73 641 801 PLN
	Rok 2			263 641 896 PLN
Całkowite wydatki, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt opieki standardowej	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt programu	Rok 1			
	Rok 2			
Pozostałe koszty	Rok 1			
	Rok 2			

Tabela 11. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant minimalny.

		Nowy scenariusz	Scenariusz istniejący	Zmiana
Całkowite wydatki, bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Całkowite wydatki, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt opieki standardowej	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt programu	Rok 1			
	Rok 2			
Pozostałe koszty	Rok 1			
	Rok 2			

Tabela 12. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant maksymalny.

		Nowy scenariusz	Scenariusz istniejący	Zmiana
Całkowite wydatki, bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Całkowite wydatki, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, bez RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt Aspaveli, z RSS	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt opieki standardowej	Rok 1			
	Rok 2			
Koszt programu	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 Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, w ramach programu lekowego będzie związane ze wzrostem wydatków z budżetu płatnika publicznego przeznaczonych na finansowanie świadczeń medycznych wśród pacjentów z analizowanej populacji.

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:
 - 73 641 801 PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [REDACTED] w 1. roku;
 - 263 641 896 PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [REDACTED] w 2. roku;
- w wariancie z RSS:
[REDACTED]

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.

Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym *klębuszkowym* zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi.
 Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Tabela 13. Wyniki analizy wrażliwości.

Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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												

Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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 17												
SA 18												
SA 19												
SA 20												
SA 21												
SA 22												
SA 23												
SA 24												
SA 25												
SA 26												
SA 27												
SA 28												
SA 29												
SA 30												
SA 31												

Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym *klębuszkowym* zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi.
 Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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 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												

Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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 47												
SA 48												
SA 49												
SA 50												
SA 51												
SA 52												
SA 53												
SA 54												
SA 55												
SA 56												
SA 57												
SA 58												
SA 59												
SA 60												
SA 61												

Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym błoniasto-rozplemowym *klębuszkowym* zapaleniem nerek z kompleksami immunologicznymi.
 Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.



Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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 62												
SA 63												
SA 64												
SA 65												
SA 66												
SA 67												
SA 68												
SA 69												
SA 70												
SA 71												
SA 72												
SA 73												
SA 74												
SA 75												
SA 76												

Nr	Liczba rozp. leczenie Aspaveli®		Liczba leczonych pod koniec		Koszt Aspaveli®, z RSS		Koszt Aspaveli®, 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 77												
SA 78												
SA 79												
SA 80												
SA 81												
SA 82												
SA 83												
SA 84												
SA 85												
SA 86												

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. Najwyższy wpływ miały założenia dotyczące:

Pozostałe założenia modelowania oraz zakres niepewności parametrów wykorzystywanych w modelowaniu na etapie Analizy ekonomicznej [104] nie miały wpływu na wyniki (zmiana w zakresie nieprzekraczającym $\pm 1\%$).

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 fiolek 20 ml wnioskowanej technologii w nowym scenariuszu.

Tabela 14. Ocena zużycia zasobów medycznych – liczba zrefundowanych fiolek 20 ml wnioskowanej technologii stosowanych w analizowanym wskazaniu w przypadku realizacji proponowanego programu lekowego.

	Prawdopodobny	Minimalny	Maksymalny
Rok 1	[redacted]		
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 Aspaveli® 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 C3G/IC-MPGN.

Oceniana technologia obejmuje stosowanie produktu Aspaveli®; 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

Aktualnie stosowane leczenie C3G/IC-MPGN nie zapobiega pogarszaniu się czynności nerek ani rozwojowi nieodwracalnego uszkodzenia nerek; u pacjentów z C3G/IC-MPGN obserwuje się systematyczną progresję do schyłkowej niewydolności nerek (ESKD). Dla chorych, którzy osiągną ESKD, jedynymi dostępnymi opcjami terapeutycznymi pozostają dializoterapia oraz przeszczepienie nerki, jednak interwencje te wiążą się z wieloma obciążeniami i wyższym ryzykiem zgonu. Wobec braku dostępnego leczenia przyczynowego/modyfikującego przebieg choroby u pacjentów z C3G/IC-MPGN, występuje wysoka niezaspokojona potrzeba medyczna w tej populacji chorych.

C3G/IC-MPGN jest chorobą rzadką, diagnozowaną rocznie u kilkudziesięciu pacjentów w Polsce z chorobowością na poziomie do kilkuset pacjentów. Wnioskowana technologia posiada status leku sierocego w leczeniu C3G/IC-MPGN (opinia nr EU/3/22/2716 z dnia 11 listopada 2022 roku) ponieważ została opracowana do leczenia rzadkiej, zagrażającej życiu lub przewlekłe wyniszczającej choroby i/lub jej opracowanie bez zachęt finansowych dla Podmiotu odpowiedzialnego byłoby mało prawdopodobne.

Analiza ekonomiczna [104] wykazała, że stosowanie leku Aspaveli® 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 opcji terapeutycznej z potwierdzoną skutecznością (wnioskowana technologia) będzie stanowić odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi.

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania pegcetakoplanu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiągniętych wyników zdrowotnych; [REDACTED]

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 [104]. Tym samym niektóre ograniczenia przeprowadzonego modelowania [104] 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 C3G/IC-MPGN w Polsce, które mogłyby być wykorzystane w niniejszej analizie. Brak jest jednoznacznych i wiarygodnych danych dotyczących epidemiologii C3G/IC-MPGN w Polsce i na świecie, co może wynikać m.in. z braku rejestrów tej choroby w wielu krajach (w tym w Polsce), niskiej świadomości społeczeństwa dotyczącej tej rzadkiej choroby oraz zróżnicowanego poziomu diagnostyki i dostępu do lekarzy z doświadczeniem w leczeniu C3G/IC-MPGN w poszczególnych krajach. W związku z powyższym brak jest możliwości wiarygodnego oszacowania liczebności populacji docelowej w Polsce na podstawie wskaźników epidemiologicznych. Tym samym konieczne było uwzględnienie przybliżonych wskaźników epidemiologicznych, dotyczących innych krajów, danych międzynarodowych, założeń i/lub opinii ekspertów klinicznych.

Należy jednak podkreślić, że w analizie wykorzystano najlepsze dostępne dane odzwierciedlające aktualną sytuację w Polsce. Jednocześnie w ramach analizy wrażliwości uwzględniono opcjonalne źródła danych, które pozwalały uzyskać podobne wyniki analizy jak w przypadku analizy podstawowej.

9. DYSKUSJA

Przedmiotem opracowania była ocena konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi, w ramach programu lekowego.

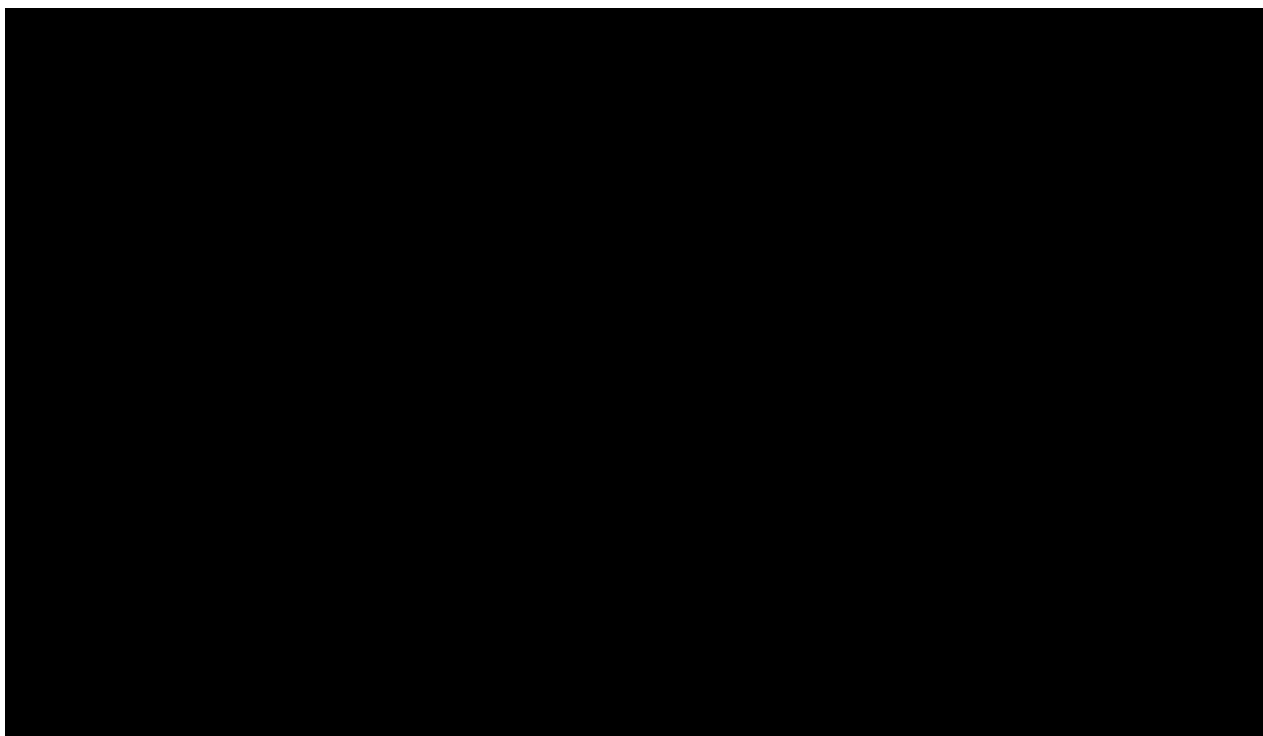
W ramach analizy wykorzystano opublikowane źródła informacji, opinie ekspertów klinicznych (por. informacje przedstawione w Analizie Problemu Decyzyjnego [40]) oraz założenia. Szczegóły dotyczące ograniczeń uwzględnionych w opracowaniu źródeł informacji przedstawiono w rozdziałach: 2., 3. i 5. Analizy ekonomicznej [104] oraz w rozdziale 2. niniejszej analizy wpływu na budżet.

Dostępne dowody naukowe potwierdzają skuteczność i akceptowalny profil bezpieczeństwa stosowania pegcetakoplanu w tym wskazaniu [41]. W ramach przeprowadzonego modelowania na etapie analizy ekonomicznej [104], przekładającego wyniki badania klinicznego 3 fazy o akronimie VALIANT [54] na długoterminowe efekty kliniczne wykazano, że stosowanie leku Aspaveli® (pegcetakoplan) w leczeniu pacjentów w wieku od 12 lat i starszych z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplemowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi prowadzi do redukcji poziomu proteinurii (uPCR), spowolnienia tempa progresji choroby nerek (spadku eGFR), wydłużenia czasu pozostawania bez dializoterapii i/lub przeszczepienia nerki (średnio o 27,6 roku) oraz zwiększenia prawdopodobieństwa i czasu utrzymywania stabilizacji choroby. Powyższe korzyści kliniczne przełożyły się na przedłużenie życia chorego (średnio o 7 lat), wzrost jakości życia chorego oraz redukcję kosztów w ciągu dalszego przebiegu choroby (w szczególności kosztów dializoterapii i przeszczepienia nerki, a także kosztu leczenia zdarzeń sercowo-naczyniowych). Dodatkowo zaobserwowano, że zmniejszenie zapotrzebowania na przeszczep nerki wśród chorych stosujących pegcetakoplan może przełożyć się na poprawę wyników zdrowotnych i oszczędności wśród innych pacjentów oczekujących na przeszczep.

Zgodnie z wynikami niniejszej analizy ustalono, że wszystkie korzyści kliniczne stosowania pegcetakoplanu wymagać będą dodatkowych nakładów finansowych NFZ. Niemniej jednak, wzrost całkowitych wydatków z budżetu płatnika publicznego będzie niewspółmierny do osiągniętych wyników zdrowotnych.

[REDACTED]

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).



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

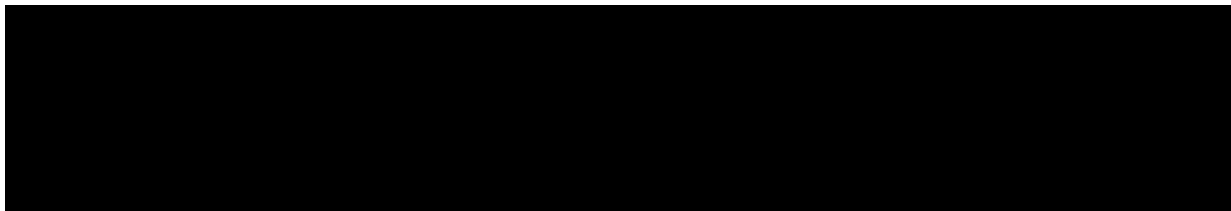
10. WNIOSKI KOŃCOWE

Wyniki niniejszej analizy wskazują, że objęcie refundacją pegcetakoplanu (Aspaveli®) w leczeniu dorosłych pacjentów z z glomerulopatią C3 lub pierwotnym kłębuszkowym zapaleniem błoniasto-rozplelowym nerek wywołanym kompleksami immunologicznymi 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:
 - 73,6 mln PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [redacted] w 1. roku;
 - 263,6 mln PLN (zakres niepewności określony w ramach skrajnych scenariuszy: [redacted] w 2. roku;

- w wariancie z RSS:



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: luty 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, Bingefors 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: luty 2026).
- [34] Główny Urząd Statystyczny. Rocznik Demograficzny 2025. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2025,3,19.html>
- [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 2025 r. w sprawie szacunków wartości produktu krajowego brutto na jednego mieszkańca w latach 2021–2023.
- [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: luty 2026).
- [39] Katalog leków Pharmindex, <http://pharmindex.pl> (ostatnia aktualizacja: luty 2026).
- [40] Przygotowana przez Centrum HTA Sp. z o.o. Analiza Problemu Decyzyjnego (APD). Kraków, luty 2026 roku.
- [41] Przygotowana przez Centrum HTA Sp. z o.o. Analiza kliniczna (AK) – przegląd systematyczny badań dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, luty 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: luty 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] NICE. TA1074. Sparsentan for treating primary IgA nephropathy. <https://www.nice.org.uk/guidance/ta1074>
- [53] NFZ. Raport 2015 – 2019. Przewlekła choroba nerek - ezdrowie.gov.pl. <https://ezdrowie.gov.pl/portal/home/badania-i-dane/zdrowe-dane/raporty/przewlekla-choroba-nerek>. 2020-06-30
- [54] Fakhouri F, Bombach AS, Ariceta G, et al. Trial of Pegcetacoplan in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex MPGN. N Engl J Med. 2025;393(22):2210-2220. doi:10.1056/NEJMoa2501510
- [55] World Bank. GDP deflator (base year varies by country), PPP conversion factor, GDP (LCU per international \$). https://data.worldbank.org/indicator/NY.GDP.DEFL.ZS?name_desc=false i <https://data.worldbank.org/indicator/PA.NUS.PPP>.
- [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 Aspaveli. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/aspaveli>

-
- [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/Zarzadzenie-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/Zarzadzenie-75_2026_DGL
- [61] Katalog ryczałtów 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/Zarzadzenie-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/Zarzadzenie-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/Zarzadzenie-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/Zarzadzenie-74_2026_DSOZ
- [65] Smith RJH, Appel GB, Blom A i wsp. C3 glomerulopathy - understanding a rare complement-driven renal disease. *Nat Rev Nephrol*, 2019. 15(3): p. 129-143.
- [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, Chudzińska-Bator A, Żerda I, Władysław 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] Willey CJ, Coppo R, Schaefer F i wsp. The incidence and prevalence of IgA nephropathy in Europe [published online ahead of print, 2023 May 8]. *Nephrol Dial Transplant*. 2023;gfa082. doi:10.1093/ndt/gfa082
- [70] Perkowska-Ptasinska A, Bartczak A i wsp. Clinicopathologic correlations of renal pathology in the adult population of Poland. *Nephrol Dial Transplant*. 2017;32(suppl_2):ii209-ii218. doi:10.1093/ndt/gfw365
- [71] Kovala M, Seppälä M, Räisänen-Sokolowski A i wsp. Diagnostic and Prognostic Comparison of Immune-Complex-Mediated Membranoproliferative Glomerulonephritis and C3 Glomerulopathy. *Cells* 2023, 12, 712
- [72] O'Keefe H, Storrar J, Chethana Ramakrishna C i wsp. Membranoproliferative Glomerulonephritis over 20 Years at a Tertiary Referral Center in the UK. *Glomerular Dis*, 2024. 4(1): p. 159-166
- [73] Pana N, Stefan G, Stancu S i wsp. Clinicopathological Characteristics and Disease Chronicity in Glomerular Diseases: A Decade-Long Study at Romania's Largest Kidney Biopsy Reference Center. *Biomedicines*, 2024. 12(6)
- [74] AOTMiT. Materiały do zlecenia 101/2024 (Kinpeygo). <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2024/1033-materialy-2024/8550-101-2024-zlc>
- [75] Masoud S, Wong K, Pitcher D, et al. Quantifying association of early proteinuria and estimated glomerular filtration rate changes with long-term kidney failure in C3 glomerulopathy and immune-complex membranoproliferative glomerulonephritis using the United Kingdom RaDaR Registry. *Kidney Int*. 2025;108(3):455-469. doi:10.1016/j.kint.2025.06.003
- [76] Nakagawa N, Hasebe N, Hattori M, et al. Clinical features and pathogenesis of membranoproliferative glomerulonephritis: a nationwide analysis of the Japan renal biopsy registry from 2007 to 2015. *Clin Exp Nephrol*. 2018;22(4):797-807. doi:10.1007/s10157-017-1513-7
- [77] Caravaca-Fontán F, Toledo-Rojas R, Huerta A, et al. Comparative Analysis of Proteinuria and Longitudinal Outcomes in Immune Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis and C3 Glomerulopathy. *Kidney Int Rep*. 2025;10(4):1223-1236. Published 2025 Jan 18. doi:10.1016/j.ekir.2025.01.024
- [78] Rada NFZ. Uchwała Nr 5/2025/V z dnia 24.10.2025 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2025 r. <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-52025v,6724.html>
- [79] Caravaca-Fontan F, Diaz-Encarnacion MM, Lucientes L, Caverio T, Cabello V, Ariceta G, et al. Mycophenolate Mofetil in C3 Glomerulopathy and Pathogenic Drivers of the Disease. *Clin J Am Soc Nephrol*. 2020;15(9):1287-98
- [80] Cooper JT, Lloyd A, Sanchez JGG, Sorstad E, Briggs A, McFarlane P. Health related quality of life utility weights for economic evaluation through different stages of chronic kidney disease: a systematic literature review. *Health Qual Life Outcomes*. 2020;18(1):310.
-

- [81] Zenios SA. Modeling the transplant waiting list: A queueing model with reneging. *Queueing Systems*. 1999;31(3/4):239-51
- [82] Peterson JC AS, Burkart JM, Greene T, Hebert LA, Hunsicker LG, King AJ, Klahr S, Massry SG, Seifter JL, . Blood Pressure Control, Proteinuria, and the Progression of Renal Disease. The Modification of Diet in Renal Disease Study. *Annals of Internal Medicine*. 1995;123(10):754-62.
- [83] Marques F, Reis J, Godinho I, Pereira M, Fernandes P, Jorge S, et al. Impact of Early Proteinuria Reduction in Glomerular Disease and Decline of Kidney Function: A Retrospective Cohort. *J Clin Med*. 2022;11(19).
- [84] Gohda T, Murakoshi M, Suzuki Y, Kagimura T, Wada T, Narita I. Effect of proteinuria on the rapid kidney function decline in chronic kidney disease depends on the underlying disease: A post hoc analysis of the BRIGHTEN study. *Diabetes Res Clin Pract*. 2024;212:111682.
- [85] Troost JP, Trachtman H, Spino C, Kaskel FJ, Friedman A, Moxey-Mims MM, et al. Proteinuria Reduction and Kidney Survival in Focal Segmental Glomerulosclerosis. *Am J Kidney Dis*. 2021;77(2):216-25
- [86] Nester C, Decker DA, Meier M, Aslam S, Bombach AS, Caravaca-Fontan F, et al. Developing Therapies for C3 Glomerulopathy: Report of the Kidney Health Initiative C3 Glomerulopathy Trial Endpoints Work Group. *Clin J Am Soc Nephrol*. 2024;19(9):1201-8
- [87] Pruett TL, Vece GR, Carrico RJ, Klassen DK. US deceased kidney transplantation: Estimated GFR, donor age and KDPI association with graft survival. *EClinicalMedicine*. 2021;37:100980
- [88] Organ Donation Registry Fact Sheet_7 [Available from: https://nhsbtmediaservices.blob.core.windows.net/organ-donation-assets/pdfs/Organ_Donation_Registry_Fact_Sheet_7_21337.pdf.
- [89] Axelrod DA, Schnitzler MA, Xiao H, Irish W, Tuttle-Newhall E, Chang SH, et al. An economic assessment of contemporary kidney transplant practice. *Am J Transplant*. 2018;18(5):1168-76.
- [90] Agarwal R, Filippatos G, Pitt B, et al. Cardiovascular and kidney outcomes with finerenone in patients with type 2 diabetes and chronic kidney disease: the FIDELITY pooled analysis. *Eur Heart J*. 2022;43(6):474-484. doi:10.1093/eurheartj/ehab777
- [91] Wechsler PM, Pandya A, Parikh NS, et al. Cost-Effectiveness of Increased Use of Dual Antiplatelet Therapy After High-Risk Transient Ischemic Attack or Minor Stroke. *J Am Heart Assoc*. 2024;13(7):e032808. doi:10.1161/JAHA.123.032808
- [92] McEwan P, Darlington O, Miller R, et al. Cost-Effectiveness of Dapagliflozin as a Treatment for Chronic Kidney Disease: A Health-Economic Analysis of DAPA-CKD. *Clin J Am Soc Nephrol*. 2022;17(12):1730-1741. doi:10.2215/CJN.03790322
- [93] Matsushita K, Coresh J, Sang Y, Chalmers J, Fox C, Guallar E, et al. Estimated glomerular filtration rate and albuminuria for prediction of cardiovascular outcomes: a collaborative meta-analysis of individual participant data. *Lancet Diabetes Endocrinol*. 2015;3(7):514-25.
- [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] Public Health England (2018). First stroke estimates in England: 2007 to 2016 - Briefing document. <https://www.gov.uk/government/publications/first-stroke-estimates-in-england-2007-to-2016>.
- [96] Bellanca L, Linden S, Farmer R. Incidence and prevalence of heart failure in England: a descriptive analysis of linked primary and secondary care data - the PULSE study. *BMC Cardiovasc Disord*. 2023;23(1):374. Published 2023 Jul 26. doi:10.1186/s12872-023-03337-1
- [97] Life Tables for the United States Social Security Area 1900-2100 [Available from: https://www.ssa.gov/oact/NOTES/as116/as116_Tbl_3.html.
- [98] Scarborough P, Kaur A, Cobiaci LJ. Forecast of myocardial infarction incidence, events and prevalence in England to 2035 using a microsimulation model with endogenous disease outcomes. *PLoS One*. 2022;17(6):e0270189
- [99] Quist SW, van Loon J, Bakker S, Pochopien M, Postma MJ, Paulissen J. Cost-effectiveness of treatment with finerenone in mild to advanced stage chronic kidney disease patients with type 2 diabetes from a societal perspective. *BMJ Public Health*. 2025;3(1):e001288.
- [100] AOTMiT. Materiały do zlecenia nr 116/2026. <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2026/1125-materiały-2026/9695-116-2026-zlc>
- [101] Uchwała Nr 11/2026/V z dnia 13.04.2026 w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2025 r. <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-112026v,6751.html>
- [102] NFZ. Raport refundacyjny z dnia 22.06.2025 za 2025 rok. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8963.html>
- [103] Katalog zakresów świadczeń w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie. Załącznik do zarządzenia nr 23/2026/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 11 lutego 2026 r. https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43804/Zarzadzenie-23_2026_DSOZ
- [104] Analiza ekonomiczna dla rozważanego problemu decyzyjnego. Kraków, sierpień 2026 roku.

-
- [105] Propozycja Opis Programu lekowego dla Aspaveli. Leczenie glomerulopatii c3 (c3g) lub pierwotnego kłębuszkowego zapalenia błoniasto-rozplamowatego nerek wywołanego kompleksami immunologicznymi (ic-mpgn).

12. SPIS TABEL

Tabela 1. Oceniana technologia i sugerowany sposób jej finansowania.	16
Tabela 2. Odsetek wykorzystania poszczególnych składników BSC w badaniu VALIANT.	21
Tabela 3. Charakterystyki wejściowe pacjentów z analizowanej populacji.	23
Tabela 4. Kryterium zastosowania Aspaveli wśród pacjentów z C3G/IC-MPGN – opublikowane dane.	30
Tabela 5. Podsumowanie liczebności całkowitej populacji pacjentów, uwzględnionej w ramach analizy podstawowej. W nawiasach podano wyniki skrajnych scenariuszy: minimalnego i maksymalnego; wartości zaokrąglone.	34
Tabela 6. Koszty i zużycie zasobów medycznych na cykl 3-miesięczny w trakcie pierwszych dwóch lat od rozpoczęcia stosowania porównywanych interwencji w przeliczeniu na 1 standardowego pacjenta rozpoczynającego leczenie. Wyniki modelowania [104].	36
Tabela 7. Parametry i założenia modelu Analizy ekonomicznej [104].	37
Tabela 8. Charakterystyka wariantów liczebności populacji docelowej uwzględnionych w ramach analizy podstawowej.	43
Tabela 9. Opis scenariuszy analizy wrażliwości.	44
Tabela 10. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant prawdopodobny.	48
Tabela 11. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant minimalny.	49
Tabela 12. Wyniki analizy wpływu na budżet. Wariant maksymalny.	50
Tabela 13. Wyniki analizy wrażliwości.	52
Tabela 14. Ocena zużycia zasobów medycznych – liczba zrefundowanych fiolek 20 ml wnioskowanej technologii stosowanych w analizowanym wskazaniu w przypadku realizacji proponowanego programu lekowego.	58
Tabela 15. 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.	72

13. SPIS RYSUNKÓW

Rysunek 1. Zmiana liczebności chorych w proponowanym programie w przypadku refundacji wnioskowanej technologii.	19
Rysunek 2. Wskaźniki biopsji nerek w okresie badania Perkowska-Ptasińska 2017 [70].	28
Rysunek 3. Liczba hospitalizacji ze wskazaną procedurą biopsji nerki [48].	28
Rysunek 4. Ekstrapolacja stopnia wykorzystania budżetu na refundację.	63

14. OCENA SPEŁNIENIA WYMOGÓW FORMALNYCH ANALIZY

Tabela 15. 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	Odwolanie ^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.	-

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 objęciu refundacją</u>, o której mowa wart. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzji o podwyższeniu ceny, o której mowa wart. 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 <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia <u>wyda decyzję o objęciu refundacją</u>, o której mowa wart. 11 ust. 1 ustawy, lub decyzję o podwyższeniu ceny, o której mowa wart. 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 <u>w stanie klinicznym wskazanym we wniosku</u>, 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>różnicę 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>różnicy 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 prognozami, 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 prognoz, 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 prognoz, 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 <u>dodatkowy wariant</u> , w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane?	TAK	Rozdział 2.5.	-

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.	-

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.	-

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 uwzględniania 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