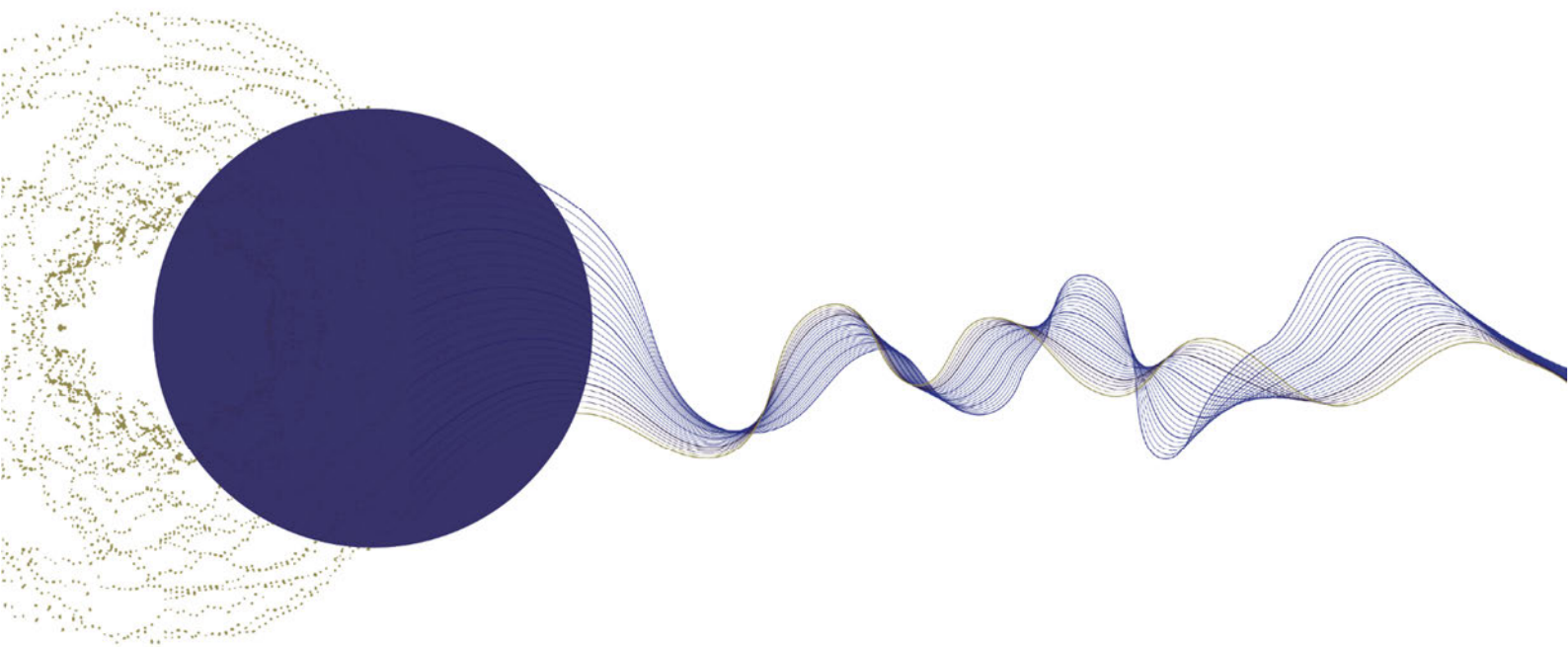




ANALIZA WPŁYWU NA BUDŻET

PKU GMPPro Delight stosowany w fenyloketonurii u osób powyżej 3. roku życia

WERSJA 1.0,
KRAKÓW, CZERWIEC 2026



HTA Consulting

ul. Starowińska 17/3, 31-038 Kraków

tel.: +48 (0) 12 421-88-32

hta.pl

Projekt zakończono: 1.06.2026

Kierownik projektu:

[REDACTED]

Autorzy:

[REDACTED]

metodyka analizy, analiza danych, koordynacja prac

[REDACTED]

metodyka analizy, analiza danych, opracowanie tekstu raportu,
opracowanie aplikacji obliczeniowej

[REDACTED]

metodyka analizy, analiza danych

[REDACTED]

analiza danych, opracowanie tekstu raportu

Zgodnie z procedurami firmy HTA Consulting analizę poddano wewnętrznej kontroli jakości w następujących obszarach:

Kontrola obliczeń:

[REDACTED]

Korekta językowa:

[REDACTED]

Kontrola merytoryczna:

[REDACTED]

Powielanie tego dokumentu w całości, w częściach, jak również wykorzystywanie całości tekstu lub jego fragmentów wymaga zgody właściciela praw majątkowych oraz podania źródła.

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

Nutricia Sp. z o.o.

Ul. Bobrowiecka 8

00-728 Warszawa

Zamawiającego reprezentowała:

[REDACTED]

Spis treści

Indeks skrótów	5
Streszczenie	6
1. Wprowadzenie do analizy	9
1.1. Cel analizy	9
1.2. Stan aktualny	9
1.3. Kwalifikacja do grupy limitowej	13
1.4. Założenia analizy	14
2. Metodyka i dane źródłowe	16
2.1. Sposób przeprowadzenia analizy	16
2.2. Forma analizy	17
2.3. Perspektywa analizy	17
2.4. Horyzont czasowy	17
2.5. Populacja docelowa	17
2.6. Udziały preparatów białkozastępczych	22
2.7. Zużycie zasobów	28
2.8. Koszty	33
2.9. Analiza wrażliwości	38
3. Wyniki analizy	39
3.1. Populacja docelowa	39
3.2. Scenariusz istniejący	40
3.3. Scenariusz nowy	40
3.4. Wydatki inkrementalne	41
3.5. Podsumowanie	42
4. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia	44
4.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych	44
4.2. Aspekty etyczne i społeczne	44
5. Podsumowanie i wnioski	46
6. Ograniczenia	49
7. Dyskusja	50
8. Bibliografia	53
9. Spis tabel	55
10. Zestawienie weryfikacyjne analizy ze względu na minimalne wymagania Ministerstwa Zdrowia	57
Aneks A.	59
A.1. Analiza wrażliwości	59
Aneks B.	63
B.1. Populacja docelowa	63
B.2. Sprzedaż preparatów białkozastępczych	65

B.3.	Dzienna podaż białka	68
Aneks C.		73
C.1.	Preparaty białkozastępcze refundowane w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia	73

Indeks skrótów

AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
AW	Analiza wrażliwości
AWA	Analiza weryfikacyjna Agencji
BIA	Analiza wpływu na budżet (<i>Budget Impact Analysis</i>)
BMI	Wskaźnik masy ciała (<i>Body Mass Index</i>)
GMP	Glikomakropeptyd
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HTA	Ocena technologii medycznych (<i>Health Technology Assessment</i>)
IMIiD	Instytut Matki i Dziecka
L-AA	Dieta bezfenyloalaninowa (<i>Phe free L Amino Acid</i>)
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
Phe	Fenyloalanina (<i>Phenylalanine</i>)
PKU	Fenylketonuria (<i>Phenylketonuria</i>)
śsspż	Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego

Streszczenie

CEL

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Delight stosowanego u osób powyżej 3. roku życia chorujących na fenyloketonurię (PKU, ang. *phenylketonuria*).

METODYKA

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego oraz wspólnej płatnika publicznego i pacjentów. Uwzględniono 2-letni horyzont czasowy, począwszy od 1 stycznia 2027 roku. W analizie założono, że PKU GMPPro Delight będzie finansowany w ramach wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobów medycznych w kategorii dostępności refundacyjnej – środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępny w aptece na receptę we wskazaniu określonym stanem klinicznym: Fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobowa tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych. Wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową.

Populację docelową analizy stanowią pacjenci w wieku powyżej 3. roku życia z potwierdzoną fenyloketonurią, u których dobowa tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

Liczebność populacji docelowej wyznaczono w oparciu o dane sprzedażowe dla refundowanych preparatów białkozastępczych, dane NFZ dotyczące liczby pacjentów stosujących preparaty białkozastępcze refundowane w PKU oraz wytyczne w zakresie zalecanej podaży białka. Udział PKU GMPPro Delight w scenariuszu nowym określono na podstawie założeń oraz danych NFZ dotyczących liczby sprzedanych opakowań preparatów GMP.

W analizie uwzględniono wyłącznie koszty ponoszone na produkty białkozastępcze: preparat PKU GMPPro Delight oraz aktualnie refundowane preparaty białkozastępcze stosowane w diecie eliminacyjnej w PKU w populacji docelowej.

W scenariuszu istniejącym założono, że preparat PKU GMPPro Delight nie będzie finansowany ze środków publicznych w leczeniu fenyloketonurii w Polsce. W scenariuszu nowym założono, że preparat PKU GMPPro Delight będzie finansowany w populacji docelowej w ramach wykazu otwartego. Wyniki dla obu scenariuszy przedstawiono w postaci wydatków całkowitych oraz z podziałem na poszczególne typy preparatów białkozastępczych. Dodatkowo przedstawiono wydatki inkrementalne, tj. różnice między wydatkami w scenariuszu nowym i istniejącym.

WYNIKI

Populacja

Prognozowana liczba pacjentów z populacji docelowej wynosi 2 047 osób w roku 2027 oraz 2 070 osób w roku 2028. Liczebność populacji docelowej jest taka sama w scenariuszu istniejącym oraz w scenariuszu nowym.

W scenariuszu istniejącym żaden pacjent z populacji docelowej nie stosuje preparatu PKU GMPPro Delight w diecie eliminacyjnej w PKU. [REDACTED]

Scenariusz istniejący

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

- [REDACTED]

[REDACTED]

Scenariusz nowy

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wydatki inkrementalne

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

WNIOSKI

[REDACTED]

Trudnym i ważnym dla prawidłowego rozwoju i funkcjonowania wyzwaniem dla pacjentów z PKU jest przestrzeganie zaleceń terapeutycznych (compliance). Kontrola choroby wymaga od pacjenta silnej woli i motywacji przez całe życie. Jako że produkt ma postać proszku dostępnego w 2 nowych wersjach smakowych (owoce tropikalne PKU GMPPro Delight Tropical i owoce jagodowe PKU GMPPro Delight Berry) wśród preparatów GMP, finansowanie PKU GMPPro Delight może przyczynić się do poprawy sytuacji pacjentów z PKU poprzez zwiększenie różnorodności dostępnych produktów i zmniejszenie monotonii wieloletniego stosowania restrykcyjnej diety. [REDACTED]

[REDACTED]

Różnorodność produktów białkozastępczych stosowanych w PKU, w tym ich smaków, ma kluczowe znaczenie dla poprawy przestrzegania zaleceń dietetycznych przez pacjentów. Potrzebę zwiększania różnorodności tego typu produktów wskazywała Rada Przejrzystości przy AOTMiT oraz Prezes AOTMiT w opiniach i rekomendacjach dotyczących 2 syntetycznych preparatów niefenyloalaninowych [1–4]. Na duże oczekiwania pacjentów związane z dostępem do różnorodnych produktów białkozastępczych zwrócił uwagę przedstawiciel organizacji pacjentów chorych na PKU („ARS VIVENDI”) w opinii przedstawionej w Analizie Weryfikacyjnej dla produktu PKU GMPPro Mix-In opublikowanej w lipcu 2025 roku na BIP AOTMiT [5].

Podsumowując, wprowadzenie do refundacji nowego produktu opartego o GMP – produktu PKU GMPPro Delight, który odróżnia się od dotychczas refundowanych produktów GMP rodzajem dostępnych smaków i [REDACTED], zwiększyłoby różnorodność białkozastępczych preparatów stosowanych u pacjentów z PKU. Tym samym pojawienie się nowego refundowanego produktu mogłoby wpłynąć na zwiększenie poziomu przestrzegania restrykcyjnej diety pozostającej wciąż złotym standardem leczenia w PKU.

1. Wprowadzenie do analizy

1.1. Cel analizy

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) i pacjentów w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Delight stosowanego u osób powyżej 3. roku życia z potwierdzoną fenyloketonurią (PKU, ang. *phenylketonuria*).

Szczegółowy opis problemu zdrowotnego, interwencji ocenianej i technologii opcjonalnych przedstawiono w ramach analizy problemu decyzyjnego [6].

1.2. Stan aktualny

1.2.1. Aktualna praktyka kliniczna

Preparaty białkozastępcze stosowane przez pacjentów z fenyloketonurią finansowane są ramach wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w kategorii dostępności refundacyjnej – środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępny w aptece na receptę (lista A2) i wydawane są świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową.

Aktualnie w Polsce refundowane są preparaty białkozastępcze:

- pochodzenia naturalnego, powstałe na bazie glikomakropeptydu (GMP);
- syntetyczne skondensowane oraz nieskondensowane, oparte na syntetycznych mieszankach aminokwasów (L-AA).

Spośród preparatów GMP obecnie w Polsce refundacji ze środków publicznych podlega preparat PKU Sphere oraz PKU GMPPro Mix-In. Pozostałe refundowane obecnie w Polsce preparaty białkozastępcze należą do grupy L-AA.

Wskazanie refundacyjne PKU GMPPro Mix-In obejmuje pacjentów powyżej 3. roku życia, u których dobową tolerancję fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych. Preparat jest dostępny w formie bezsmakowego i bezzapachowego proszku.

PKU Sphere jest refundowany w populacji pacjentów powyżej 4. roku życia, u których dobową tolerancja fenylalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych i jest dostępny w 8 postaciach (w tym w 5 smakach):

- PKU Sphere 15 o smaku czekoladowym, proszek, 15 g białka,
- PKU Sphere 15 o smaku czerwonych owoców, proszek, 15 g białka,
- PKU Sphere 15 o smaku waniliowym, proszek, 15 g białka,
- PKU Sphere 20 o smaku bananowym, proszek, 20 g białka,
- PKU Sphere 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20 g białka,
- PKU Sphere 20 o smaku czekoladowym, proszek, 20 g białka,
- PKU Sphere 20 o smaku czerwonych owoców, proszek, 20 g białka,
- PKU Sphere 20 o smaku waniliowym, proszek, 20 g białka.

Refundowane obecnie w populacji obejmującej pacjentów z PKU od 3. r.ż. skondensowane preparaty białkozastępcze to:

- Lophlex (proszek do sporządzania zawiesiny doustnej; 3 smaki: owoce leśne, pomarańczowy i neutralny),
- Mevalia PKU Motion (płyn, 4 postaci, w tym w 2 smakach: Red Fruits, Tropical),
- Milupa PKU 2 prima (proszek),
- Milupa PKU 2 secunda (proszek),
- Milupa PKU 3 advanta (proszek),
- PKU Cooler (płyn; 15 postaci, w tym w 5 smakach: Orange, Purple, Red, White, Yellow),
- PKU Express (proszek, 8 postaci, w tym w 4 smakach: cytrynowy, neutralny, owoce tropikalne, pomarańczowy),
- PKU Gel (proszek; 3 smaki: neutralny, pomarańczowy, malinowy),
- PKU Lophlex LQ (płyn, 8 postaci, w tym w 4 smakach: Berries, Citrus, Orange, Tropical),
- PKU Lophlex Select (herbata brzoskwiniowa lub miętowa).

Refundowane obecnie w populacji obejmującej pacjentów z PKU od 3. r.ż. nieskondensowane preparaty białkozastępcze to:

- Milupa PKU 2 mix (proszek),
- Milupa PKU 2 shake (proszek, 2 smaki: czekoladowy, truskawkowy),
- Milupa PKU 3 tempora (proszek),
- Phenyl-Free 2HP (proszek),
- Phenyl-Free 2 (proszek),
- PKU Anamix junior (proszek, 5 smaków: czekoladowy, neutralny, owoce leśne, pomarańczowy, waniliowy),
- Easiphen (płyn, 1 smak: owoce leśne),
- XP Maxamum (proszek, 1 smak: pomarańczowy).

Pełna lista preparatów refundowanych dla pacjentów powyżej 3. roku życia została przedstawiona w aneksie (rozdział Aneks C).

1.2.2. Aktualna liczebność populacji docelowej

Oszacowanie liczebności populacji docelowej w 2026 roku przeprowadzono na podstawie tej samej metodyki oraz źródeł danych, które wykorzystano w analizie wpływu na budżet do prognozy liczebności populacji docelowej na lata 2027–2028. Szczegółowe obliczenia dotyczące liczebności populacji docelowej zaprezentowano w rozdziale 2.5. Zgodnie z wynikami przeprowadzonych obliczeń łączna liczba pacjentów w ocenianej populacji w 2026 roku wynosi 2 024 osoby zgodnie z metodyką oszacowania populacji docelowej w analizie podstawowej, tj. w oparciu o prognozę danych NFZ dotyczących sprzedaży środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz) refundowanych w PKU.

Tabela 1.
Liczebność populacji docelowej w 2026 roku

Parametr	Wartość
Liczba pacjentów z PKU powyżej 3 r.ż.	2 024

1.2.3. Aktualne roczne wydatki w populacji docelowej

Aktualne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów z populacji docelowej zostały wyznaczone dla liczebności tej populacji w 2026 roku (Tabela 2). Pozostałe dane populacyjne i kosztowe uwzględnione w obliczeniach oraz metodyka przeprowadzonych oszacowań jest analogiczna, jak w przypadku szacowania wydatków w scenariuszu aktualnym analizy BIA (szczegółowe dane przedstawiono w rozdziale 2.5).

Oszacowane aktualne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów z populacji docelowej analizy wynoszą około [REDACTED] rocznie.

Tabela 2.
Wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej 2026 roku

Parametr	Wartość
Aktualne wydatki płatnika w populacji docelowej	[REDACTED]

Zgodnie z raportem refundacyjnym kwota refundacji za preparaty białkozastępcze finansowane dla pacjentów powyżej 3. roku życia w roku 2025 to około 60,06 mln zł [7]. Należy zaznaczyć, że kwota ta dotyczy sprzedaży wszystkich opakowań preparatów z analizowanych grup limitowych, podczas gdy

część z nich może być stosowana również u chorych poniżej 3. roku życia. Niemniej jednak, biorąc pod uwagę szacowany roczny wzrost liczebności populacji pacjentów z PKU (Tabela 9), wydatki płatnika publicznego wyznaczone na rok 2026 i przedstawione w tabeli powyżej są spójne z wydatkami NFZ raportowanymi za rok 2025.

Tabela 3.
Kwota refundacji preparatów stosowanych w PKU za okres styczeń-grudzień 2025 r.

Grupa limitowa	Kwota refundacji
216.10	2,75 mln zł
216.11	1,44 mln zł
216.12	0,29 mln zł
216.13	2,28 mln zł
216.14	3,12 mln zł
216.15	0,15 mln zł
216.16	3,86 mln zł
216.17	0,63 mln zł
216.18	0,31 mln zł
216.19	15,75 mln zł
216.20	12,59 mln zł
216.21	2,12 mln zł
216.22	1,54 mln zł
216.24	0,37 mln zł
216.25	7,55 mln zł
216.5	1,92 mln zł
216.8	1,37 mln zł
216.9	2,00 mln zł
Łącznie	60,06 mln zł

1.2.4. Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Aktualnie preparat GMPPro Delight nie jest finansowany ze środków publicznych. Tym samym przyjmuje się, że liczba pacjentów, u których stosuje się ten preparat, wynosi 0.

Tabela 4.

Aktualna liczba pacjentów, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Parametr	Wartość
Aktualne liczba pacjentów otrzymujących PKU GMPPro Delight	0

1.2.5. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana

Preparat PKU GMPPro Delight jest wskazany w leczeniu u osób z PKU od 3. roku życia [8]. Definicja populacji rejestracyjnej jest zatem zgodna z definicją populacji docelowej niniejszej analizy.

Biorąc powyższe pod uwagę, liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana, jest równa liczebności populacji docelowej analizy.

1.3. Kwalifikacja do grupy limitowej

Zgodnie z ustawą o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z 12 maja 2011 roku [9] *do grupy limitowej kwalifikuje się środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego / wyrób medyczny przy zastosowaniu następujących kryteriów:*

- *tych samych lub zbliżonych wskazań lub przeznaczeń, w których są refundowane;*
- *podobnej skuteczności.*

PKU GMPPro Delight, podobnie jak PKU Sphere i PKU GMPPro Mix-In, należy do tej samej grupy produktowej tj. preparatów opartych na GMP. Należy zwrócić uwagę, że PKU Sphere jest refundowany w populacji pacjentów powyżej 4. roku życia – a więc w nieco węższej populacji niż ta będąca przedmiotem niniejszej analizy (pacjenci powyżej 3. roku życia). Produkt PKU Sphere jest dostępny w 5 smakach. Należy zaznaczyć, że smaki produktu PKU Sphere są odmienne od smaków PKU GMPPro Delight. Drugi refundowany produkt, tzn. PKU GMPPro Mix-In, jest produktem bezsmakowym. Ponadto odmiennie niż w przypadku PKU GMPPro Delight, produkt PKU GMPPro Mix-In jest skondensowany – w jego składzie występuje wysoka zawartość praktycznie bezsmakowego GMP i zarazem niska zawartość dodatkowych aminokwasów oraz brak składników mineralnych, które wpływają na smak potraw, do których preparat jest dodawany. To, co różni produkt PKU GMPPro Delight od pozostałych wymienionych produktów opartych o GMP, to obecność w składzie błonnika pokarmowego – PKU Sphere i PKU GMPPro Mix-In nie zawierają tego składnika pokarmowego. Ponadto preparat PKU GMPPro Delight charakteryzuje także niska kaloryczność i mała zawartość tłuszczu, zawartość kwasu dokozaheksaenowy (DHA), a także zwiększona zawartość metioniny i lizyny [6].

Jednocześnie należy zauważyć, że refundowany od stycznia 2026 roku preparat GMPPro Mix-In, pomimo tego, że jest to preparat bezsmakowy, dołączył do istniejącej grupy limitowej *216.25 Diety eliminacyjne w fenyloketonurii - produkty z glikomakropeptydami (GMP)*, w której do grudnia 2025 r. finansowane były wyłącznie preparaty smakowe.

W kontekście powyższego, pomimo zidentyfikowanych różnic między PKU GMPPro Delight a pozostałymi preparatami opartymi na GMP, w analizie założono, że preparat PKU GMPPro Delight będzie refundowany w ramach istniejącej grupy limitowej *216.25 Diety eliminacyjne w fenyloketonurii - produkty z glikomakropeptydami (GMP)*.

1.4. Założenia analizy

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy na lata 2027-2028, zakładając, że śsspż PKU GMPPro Delight zostaną objęte refundacją od 1 stycznia 2027 r.

Populację docelową w analizie stanowią pacjenci w wieku powyżej 3. roku życia z potwierdzoną fenyloketonurią, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych. Liczbę pacjentów z populacji docelowej oszacowano na podstawie:

- danych epidemiologicznych pochodzących z IMiD,
- danych NFZ i badania Szypowska 2020,
- danych sprzedażowych NFZ.

W wariancie podstawowym niniejszej analizy uwzględniono oszacowania populacji docelowej na podstawie danych sprzedażowych NFZ. Ponadto założono, że PKU GMPPro Delight będzie stosowany wśród pacjentów, którzy obecnie stosują refundowane preparaty białkozastępcze.

Dawkowanie preparatów białkozastępczych związane jest z wiekiem i masą ciała pacjentów w różnych grupach wiekowych oraz ze stopniem przestrzegania diety (compliance). Zalecaną dobową podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji docelowej wyznaczono na podstawie Zaleceń Polskiej Grupy ds. Fenyloketonurii. Compliance został oszacowany na podstawie historycznych danych sprzedażowych, danych w zakresie liczby pacjentów w wieku ≥ 3 r. ż., z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż oraz zalecanej dobowej podaży białka.

W analizie uwzględniono jedynie koszty preparatów białkozastępczych, ponieważ nie zidentyfikowano innych kategorii kosztowych stanowiących koszty różnicujące dla porównywanych terapii. Koszty jednostkowe wyznaczono na podstawie aktualnie obowiązującego Obwieszczenia MZ. W analizie uwzględniono, że preparat PKU GMPPro Delight finansowany będzie w ramach wspólnej grupy limitowej, na wykazie refundowanych leków, śsspż oraz wyrobów medycznych w kategorii dostępności refundacyjnej – środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępny w aptece na receptę we wskazaniu określonym stanem klinicznym: Fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3

roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową.

Prognozowane rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight w populacji docelowej ustalono w oparciu o założenia oraz dane NFZ dotyczące liczby sprzedanych opakowań preparatów GMP w ramach wykazu otwartego. [REDACTED]

Przyjęto założenie, że przeciętny rok trwa dokładnie 365,25 dni.

W poniższej tabeli znajduje się zestawienie źródeł danych wykorzystanych w opracowanej analizie.

Tabela 5.
Zestawienie źródeł danych wykorzystanych w niniejszej analizie

	Parametr	Źródło	Referencja
Dane populacyjne	Liczba ludności w wieku ≥ 3 r.ż.	Prognozy GUS	[10, 11]
	Liczba żywych urodzeń		
	Liczba pacjentów stosujących śsspż w PKU	AWA Mevalia PKU Motion	[12]
Dane epidemiologiczne	Częstość występowania PKU	Szypowska 2020	[13]
Rozpowszechnienie	Rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight	Dane sprzedażowe NFZ	[14]
Zużycie zasobów	Zalecana podaż białka	Żółkowska 2014	[15]
	Podaż białka z preparatów białkozastępczych	Żółkowska 2014, Choroby rzadkie 2023	[15, 16]
	Masa ciała pacjentów	GUS	[17–19]
	Struktura wieku pacjentów	AWA Mevalia PKU Motion, AWA GMPPro, GUS	[10, 12, 20]
	Odsetek pacjentów, u których nastąpi poprawa compliance po wprowadzeniu PKU GMPPro Delight	BIA GMPPro	[21]
Koszty	PKU GMPPro Delight	Dane uzyskane od Zamawiającego	x
	Preparaty białkozastępcze	Obwieszczenie MZ	[22]

2. Metodyka i dane źródłowe

2.1. Sposób przeprowadzenia analizy

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

- Zdefiniowano populację docelową dla preparatu PKU GMPPro Delight jako pacjentów z fenyloketonurią powyżej 3. roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.
- Na podstawie dostępnych danych NFZ o liczbie pacjentów z fenyloketonurią oraz danych o zrefundowanych opakowaniach preparatów białkozastępczych przeprowadzono prognozę liczebności populacji docelowej w kolejnych 2 latach, począwszy od początku 2027 roku.
- Na podstawie danych sprzedażowych oszacowano rozpowszechnienie interwencji uwzględnionych w analizie w populacji docelowej w przypadku zachowania ich aktualnego statusu refundacyjnego (scenariusz istniejący). Prognozowany udział preparatu PKU GMPPro Delight począwszy od 2027 roku (scenariusz nowy) określono na podstawie danych sprzedażowych preparatów białkozastępczych GMP oraz przyjętych założeń.
- Określono dobową podaż białka oraz koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych.
- Obliczono przewidywane wydatki płatnika w populacji docelowej w latach 2027–2028:
 - dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku utrzymania aktualnego statusu refundacyjnego, tj. w przypadku braku finansowania PKU GMPPro Delight ze środków publicznych,
 - dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu PKU GMPPro Delight ze środków publicznych.
- Wyznaczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę w wydatkach pomiędzy scenariuszem istniejącym a scenariuszem nowym. W przypadku, gdy wydatki inkrementalne są ujemne, oznacza to oszczędności dla płatnika. W przypadku oszacowania dodatnich wydatków inkrementalnych, oznaczają one dodatkowe nakłady finansowe płatnika.
- Przeprowadzono analizę wrażliwości dla zmiennych, które w największym stopniu wpływają na wyniki analizy wpływu na budżet oraz takich, których oszacowanie charakteryzuje się największą niepewnością. Dla każdej zmiennej zdefiniowano wariant oznaczony literą (A, B, ...). W obrębie danego wariantu badany parametr podlegał zmianie, przyjmując wartości: podstawową oznaczoną cyfrą 0 (np. wariant A0) oraz wartości uwzględnione w analizie wrażliwości oznaczone cyframi 1 i 2 (np. wariant A1 i A2).

2.2. Forma analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie Microsoft Office 365, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń. Arkusz kalkulacyjny umożliwia również przeprowadzenie jednokierunkowych i wielokierunkowych analiz wrażliwości.

2.3. Perspektywa analizy

Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 30 października 2023 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu [23], analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej płatnika i pacjentów, przy uwzględnieniu kosztów współpłacenia za uwzględnione w analizie produkty.

2.4. Horyzont czasowy

Analizę opracowano w 2-letnim horyzoncie czasowym przy założeniu, że PKU GMPPro Delight będzie finansowany ze środków publicznych dla pacjentów z populacji docelowej w ramach wykazu otwartego począwszy od 1 stycznia 2027 roku. Zgodnie z wytycznymi AOTMiT [24] horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi lub co najmniej w ciągu 2 lat od wprowadzenia nowej technologii. Dodatkowo, zgodnie z ustawą refundacyjną z dnia 12 maja 2011 roku [9], pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata.

2.5. Populacja docelowa

Populację docelową w analizie stanowią pacjenci w wieku powyżej 3. roku życia z potwierdzoną fenyloketonurią (PKU), u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

DANE EPIDEMIOLOGICZNE

Zgodnie z informacjami Instytutu Matki i Dziecka (IMiD) częstość występowania fenyloketonurii w Polsce wynosi 1:7000-1:8000 (średnio 1:7500) [25]. Wg prognozy liczby ludności Polski na lata 2023-

2060 opracowanej przez GUS liczba ludności Polski 3+ w 2027 i 2028 roku wyniesie około 36 mln osób [11]. Zakładając, że częstość występowania PKU nie jest uzależniona od płci, oczekiwana długość życia osób chorych na PKU jest przeciętnie taka sama, jak w populacji generalnej, a wielkość populacji chorych na PKU jest stała (w ciągu danego roku liczba zgonów wśród chorych jest zbliżona do liczby nowo diagnozowanych noworodków), liczba pacjentów z PKU w Polsce w wieku powyżej 3 lat wyniesie szacunkowo 4,8 tys. osób w latach 2027-2028.

Tabela 6.
Liczba chorych ≥ 3 r. ż. z PKU – dane epidemiologiczne

Parametr	2027	2028
Liczba ludności w wieku ≥ 3 r.ż. (GUS)	36 115 998	35 974 744
Liczba chorych w wieku ≥ 3 r.ż. z PKU	4 815	4 797

PACJENCI STOSUJĄCY PREPARATY BIAŁKOZASTĘPCZE (DANE NFZ)

W celu wiarygodnego oszacowania wydatków poszukiwano danych o liczbie osób z fenyloketonurią, którzy stosują w swojej diecie refundowane preparaty białkozastępcze. Jak wskazano w analizie weryfikacyjnej dotyczącej objęcia refundacją środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego GMPPro na podstawie opinii eksperta klinicznego, część osób, głównie pacjenci z łagodną postacią choroby, stosuje tylko ograniczenie spożycia białka naturalnego z wykorzystaniem żywności niskobiałkowej, bez podaży preparatów pozbawionych fenyloalaniny, a część nie stosuje żadnego leczenia mimo zaleceń lekarskich. W związku z tym PKU GMPPro Delight stosowany będzie z dużym prawdopodobieństwem wyłącznie wśród pacjentów, którzy obecnie stosują refundowane preparaty białkozastępcze.

Dane na temat liczby pacjentów z PKU odnaleziono w analizie weryfikacyjnej do zlecenia 279/2019 dotyczącej objęcia refundacją środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego Mevalia PKU Motion we wskazaniu fenyloketonuria [12] oraz w analizie weryfikacyjnej do zlecenia 44/2025 dotyczącej objęcia refundacją środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Mix-In [5]. W ramach AWA Mevalia przedstawiono dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0 (klasyczna fenyloketonuria) ogółem oraz powyżej 3. roku życia w latach 2017-2018. W ramach AWA PKU GMPPro Mix-In przedstawiono dane NFZ dotyczące liczby pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0 (klasyczna fenyloketonuria) w latach 2019-2025. Dane zamieszczono w tabeli poniżej.

Tabela 7.
Liczba pacjentów z PKU na podst. danych NFZ

Parametr	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025
Pacjenci z PKU	1839	1861	1855	1816	1843	2002	2045	2046	1291**
Pacjenci z PKU w wieku ≥ 3 r.ż.	1584	1613				bd			
Pacjenci z PKU w wieku ≥ 3 r.ż., u których zrefundowano inne śsspż*	1621	1596				bd			

* refundowane we wnioskowanym wskazaniu

** dane za okres styczeń – maj 2025

Z danych wskazanych w AWA Mevalia wynika, że pacjenci z PKU w wieku ≥ 3 r.ż. stanowią około 86%-87% pacjentów z PKU. Jednocześnie pacjenci z PKU w wieku ≥ 3 r.ż., u których zrefundowano inne śsspż refundowane we wnioskowanym wskazaniu stanowią 86%-88% populacji pacjentów z fenyloketonurią.

W ramach niesystematycznego przeszukania sieci Internet odnaleziono publikacje Szypowska 2020 [13], której celem była ocena opieki zdrowotnej chorych na klasyczną fenyloketonurię w Polsce na podstawie bazy danych NFZ w latach 2009-2015. We wspomnianym artykule szacunkowa częstość występowania PKU w Polsce wynosiła 12,93 na 100 tys. żywych urodzeń. Wykorzystując dane dotyczące zapadalności na PKU oraz liczbę urodzeń w Polsce w latach 2016-2024 i prognozę liczby urodzeń na lata 2025-2028 w oparciu o dane GUS, określono liczbę prawdopodobnych nowych przypadków PKU w latach 2016-2028.

Tabela 8.
Liczba urodzeń z PKU na podstawie danych NFZ i Szypowska 2020

Rok	Liczba żywych urodzeń	Częstość występowania PKU	Urodzenia z PKU
2016	382 254		49
2017	401 874		52
2018	388 287		50
2019	375 063		48
2020	355 309		46
2021	331 511		43
2022	305 237	12,93 / 100 000	39
2023	272 500		35
2024	251 782		33
2025	272 855		35
2026	264 982		34
2027	257 952		33
2028	252 117		33
Źródło danych	<i>Tabela 45</i>	<i>Szypowska 2020 [13]</i>	<i>Oszacowania własne</i>

Następnie przyjmując liczbę pacjentów z PKU w wieku ≥ 3 r.ż w roku 2018 wynoszącą 1613 osób (zgodnie z danymi NFZ) oraz zwiększając ją w każdym kolejnym roku o liczbę dzieci, które w danym roku osiągną wiek równy 3 lata, oszacowano prognozowaną liczbę pacjentów z PKU w wieku powyżej 3 r.ż. w okresie 2016-2028. W oszacowaniach nie uwzględniono śmiertelności i jest to podejście konserwatywne.

Tabela 9.
Oszacowanie liczby pacjentów z PKU powyżej 3. r.ż. stosujących śsspż refundowane w PKU

Parametr	2016	2017	2018	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025	2026	2027	2028
Urodzenia z PKU (U)	49	52	50	48	46	43	39	35	33	35	34	33	33
Liczba pacjentów z PKU w wieku ≥ 3 r.ż. (P)**	-	1584	1613	1662	1714	1765	1813	1859	1902	1941	1977	2009	2044
	-	Dane NFZ (Tabela 7)	Prognoza*										

* $P_n = P_{n-1} + U_{n-3}$, $n=2019, 2020, \dots, 2028$

Oszacowane w ten sposób liczby pacjentów z PKU powyżej 3. r.ż. są nieznacznie wyższe od liczb pacjentów z PKU powyżej 3. r.ż. wyznaczonych z danych przedstawionych w AWA PKU GMPPro Mix-In. Po uwzględnieniu odsetka pacjentów z PKU ≥ 3 r.ż. (87%) do liczb pacjentów z PKU ogółem przedstawionych w AWA PKU GMPPro Mix-In wyznaczone liczby pacjentów z PKU ≥ 3 r.ż. wynoszą od 1 608 osób w roku 2019 do 1 773 osób w roku 2024, co daje około 91%-97% wartości przyjętych w tabeli powyżej. W analizie uwzględniono wyższe z oszacowanych wartości, co stanowi podejście ewentualnie zawyżające liczebność populacji docelowej.

LICZBA PACJENTÓW W OPARCIU O PROGNOZĘ SPRZEDAŻY

Liczbę pacjentów z PKU oszacowano również w oparciu o dane sprzedażowe preparatów białkozastępczych refundowanych obecnie w populacji obejmującej pacjentów z PKU od 3. r.ż. w następujących krokach:

- W oparciu o dane raportowane w Statystykach NFZ za 2024 rok o liczbie zrefundowanych opakowań preparatów białkozastępczych w podziale na grupy wiekowe określono wielkość ich sprzedaży w populacji powyżej 3. roku życia (szczegóły w aneksie, rozdz. B.2.1).
- Na podstawie danych o liczbie zrefundowanych opakowań poszczególnych preparatów białkozastępczych uwzględnionych w niniejszej analizie (listę tych preparatów zamieszczono w aneksie, rozdz. Aneks C) przeprowadzono prognozę sprzedaży na lata 2026-2028 (szczegóły w aneksie, rozdz. B.2.2).
- Oszacowano rzeczywistą dobową dawkę białka w populacji pacjentów powyżej 3. r.ż. z uwzględnieniem compliance (szczegóły w aneksie, rozdz. B.3).

Przyjęto założenie, że wartość compliance oszacowana na podstawie danych z lat 2017-2018 jest reprezentatywna również dla okresu 2027-2028 oraz że pacjenci z populacji docelowej stosują wyłącznie jeden rodzaj preparatu białkozastępczego i rzeczywistą dawkę (z uwzględnieniem

compliance, szczegóły oszacowań w rozdz. 2.7). Przy takich założeniach skompilowanie danych dotyczących prognozowanej w latach 2027-2028 sprzedaży preparatów białkozastępczych i rzeczywistej podaży białka umożliwi oszacowanie liczby pacjentów stosujących śsspż w PKU w latach 2027-2028. Szczegółowe obliczenia są dostępne w pliku obliczeniowym analizy na arkuszu „Populacja”.

W poniższych tabelach przedstawiono liczbę pacjentów ≥ 3 r.ż. stosujących śsspż refundowane w PKU na podstawie prognozy sprzedaży i wyznaczonej rzeczywistej podaży białka z preparatów białkozastępczych w analizie podstawowej, w której rzeczywistą podaż białka oszacowano na 43,1 g na podstawie danych NFZ dla lat 2017-2018.

Tabela 10.

Liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. stosujących śsspż refundowane w PKU na podstawie prognozy sprzedaży i wyznaczonej rzeczywistej podaży białka w populacji ≥ 3 r.ż.

Parametr	2027	2028	Źródło danych
Prognozowana liczba sprzedanych gramów białka w populacji pacjentów w wieku powyżej 3 r.ż.			Tabela 53
Roczna* (dobowa) rzeczywista podaż białka z preparatów białkozastępczych	15 734 g (43,1 g)		Tabela 25
Liczba pacjentów w wieku ≥ 3 r.ż. z PKU	2 047	2 070	Oszacowanie własne

* Wyznaczona na podstawie dobowej podaży białka przy założeniu, że rok ma 365,25 dni

PODSUMOWANIE

Wyniki oszacowań wynikające z danych epidemiologicznych nie są zbieżne z oszacowaniami na podstawie danych NFZ. Niższe oszacowania liczby pacjentów stosujących preparaty białkozastępcze na podstawie danych NFZ może wynikać z kilku czynników, m.in. część pacjentów mogła zrezygnować z leczenia (nie zgłasza się na wizyty), czy też postać fenylketonurii może nie wymagać stosowania preparatów białkozastępczych.

Wyniki uzyskane na podstawie prognozy sprzedaży preparatów białkozastępczych są zbliżone do wartości prognozowanych w oparciu o dane NFZ dotyczące liczby pacjentów i dane o częstości występowania PKU na podstawie Szypowska 2020. Wyższa prognoza liczebności populacji w oparciu o dane sprzedażowe może wskazywać na różnice w compliance w okresie 2027-2028 względem okresu 2017-2018, może być również wynikiem wyższego niż prognozowane na podstawie danych NFZ (o liczbie pacjentów stosujących śsspż w PKU) tempa wzrostu liczebności populacji docelowej w okresie 2019-2028. Bez względu na powyższe, uzyskane wyniki wskazują, że oszacowanie wydatków w analizie w oparciu o prognozę danych sprzedażowych jest założeniem konserwatywnym.

Pacjenci z rozpoznaniem fenylketonurii stosujący śsspż aktualnie mają do wyboru wiele preparatów białkozastępczych. Finansowanie kolejnego preparatu białkozastępczego wpłynie na rozszerzenie zakresu opcji terapeutycznych dostępnych dla pacjentów z PKU, lecz najprawdopodobniej nie spowoduje wzrostu liczby pacjentów stosujących śsspż w fenylketonurii. W związku z tym w ramach

niniejszej analizy przyjęto, że PKU GMPPro Delight będzie stosowany wśród pacjentów, którzy obecnie stosują refundowane preparaty białkozastępcze.

W analizie podstawowej konserwatywnie przyjęto liczbę pacjentów prognozowaną na podstawie danych sprzedażowych i rzeczywistej podaży białka wyznaczonej w oparciu o dane NFZ z lat 2017-2018, natomiast w ramach analizy wrażliwości testowano liczbę pacjentów oszacowaną w oparciu o dane NFZ i publikację Szypowska 2020.

Tabela 11.
Liczebność pacjentów z populacji docelowej w latach 2027-2028

Wariant analizy	Źródło danych	2027	2028
Analiza podstawowa	Dane sprzedażowe, rzeczywista podaż białka na podstawie danych NFZ z lat 2017-2018	2 047	2 070
Analiza wrażliwości, wariant A1	Dane NFZ oraz publikacja Szypowska 2020	2 009	2 044

2.6. Udziały preparatów białkozastępczych

2.6.1. Scenariusz istniejący

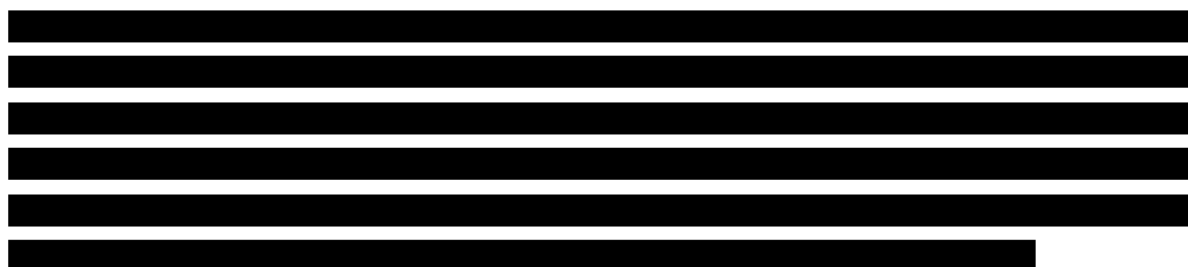
Aktualnie finansowane ze środków publicznych w leczeniu pacjentów z populacji docelowej są preparaty pochodzenia naturalnego GMP oraz preparaty syntetyczne L-AA skondensowane i nieskondensowane. W niniejszej analizie uwzględniono podział na preparaty bezsmakowe i smakowe (szczegóły w aneksie, rozdz. Aneks C). Udziały preparatów z uwzględnionym podziałem na preparaty: GMP bezsmakowe i smakowe, L-AA skondensowane bezsmakowe i smakowe, L-AA nieskondensowane bezsmakowe i smakowe określono na podstawie prognozy gramów białka sprzedanych w populacji docelowej w latach 2027-2028 (szczegóły w aneksie, rozdz. B.2.2.). Odsetki zaprezentowano w poniższych tabelach.

Tabela 12.
Udziały preparatów białkozastępczych w populacji docelowej – scenariusz istniejący

Rodzaj preparatu	2027	2028
GMP, w tym:		
bezsmałowe		
smałowe		
L-AA skondensowane, w tym:		
bezsmałowe		
smałowe		
L-AA nieskondensowane, w tym:		
bezsmałowe		
smałowe		
Łącznie	100,0%	100,0%

2.6.2. Scenariusz nowy

Preparaty oparte na glikomakropeptydzie (GMP), takie jak PKU GMPPro Delight, mogą stanowić 100% zalecanej podaży białka syntetycznego wyłącznie u pacjentów z wysoką tolerancją fenylalaniny. Jednocześnie zgodnie z opinią Pana Stanisława Maćkowiaka, Prezesa Polskiego Stowarzyszenia Pomocy Chorym Na Fenylketonurię i Choroby Rzadkie „ARS VIVENDI” przedstawioną w AWA do zlecenia 44/2025 [5]: „W polskich realiach jest to jednak mało prawdopodobne, ponieważ większość pacjentów z PKU ma klasyczną postać choroby, co oznacza bardzo niską lub niską tolerancję na ten aminokwas. (...) w niektórych krajach zdarzają się przypadki pacjentów stosujących wyłącznie preparaty na bazie GMP, w Polsce – z tego co wiem – takie sytuacje nie występują”.



W celu określenia prognozowanego rozpowszechnienia PKU GMPPro Delight wśród preparatów GMP przeanalizowano liczbę dostępnych smaków bez uwzględnienia oraz z uwzględnieniem bezsmałowego preparatu PKU GMPPro Mix-In. Zgodnie listą preparatów GMP uwzględnionych w analizie (Tabela 59) w horyzoncie czasowym analizy pacjenci mają wybór między preparatem bezsmałowym oraz preparatami PKU Sphere występującymi w następujących smakach: waniliowym, czerwonych owoców, bananowym, cytrynowym i czekoladowym. Tym samym aktualnie dostępnych jest 6 opcji smakowych (brak smaku oraz 5 smaków), zaś w przypadku refundacji wnioskowanego

preparatu lista ta rozszerzy się o 2 dodatkowe smaki – owoców jagodowych i tropikalny (PKU GMPPro Delight Berry, PKU GMPPro Delight Tropical). Zakładając, że udziały poszczególnych opcji smakowych rozkładają się równomiernie, hipotetyczne rozpowszechnienie preparatu PKU GMPPro Delight określono na 29% w przypadku zastępowania wyłącznie preparatów GMP smakowych oraz 25% w przypadku zastępowania preparatów GMP ogółem, zgodnie z poniższą tabelą.

Tabela 13.

Liczba dostępnych opcji smakowych (rozumianych jako smak lub brak smaku) oraz oszacowane na tej podstawie hipotetyczne rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight

Parametr	GMP smakowe		GMP ogółem	
	2027	2028	2027	2028
Aktualnie refundowane preparaty	5	5	6	6
PKU GMPPro Delight	2	2	2	2
Łącznie	7	7	8	8
Hipotetyczne rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight	29% (=2/7)	29% (=2/7)	25% (=2/8)	25% (=2/8)

Aby zweryfikować poprawność powyższych oszacowań przeanalizowano historyczne dane sprzedażowe NFZ dotyczące liczby gramów białka zrefundowanych w ramach poszczególnych preparatów GMP w latach 2024-2025, kiedy lista refundowanych preparatów GMP została rozszerzona o kolejne produkty. Pierwsze opakowania preparatu PKU Sphere 15 oraz PKU Sphere 20 refundowane są od stycznia 2022 roku (smak waniliowy i czerwone owoce), natomiast w styczniu 2024 na liście pojawiły się kolejne opakowania (smak bananowy, cytrynowy i czekoladowy).

Analizując te zmiany pod kątem liczby dostępnych smaków ustalono, że w latach 2024-2025 dostępnych było łącznie 5 smaków preparatów GMP, z czego 3 dostępne były od stycznia 2024 roku. Zakładając, że udziały poszczególnych opcji smakowych rozkładają się równomiernie, hipotetyczne rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 oszacowano na 60%, zgodnie z poniższą tabelą.

Tabela 14.

Liczba dostępnych opcji smakowych preparatów PKU Sphere oraz hipotetyczne rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 wśród wszystkich PKU Sphere refundowanych w latach 2024-2025

Parametr	2024	2025
Preparaty PKU Sphere refundowane przed rokiem 2024	2	2
Preparaty PKU Sphere refundowane od roku 2024	3	3
Łącznie	5	5
Hipotetyczne rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024	60% (=3/5)	60% (=3/5)

Jednocześnie na podstawie historycznych danych sprzedażowych NFZ, określono rzeczywiste udziały nowych opakowań PKU Sphere w pierwszych latach ich refundacji tj. w 2024 i 2025 roku wśród wszystkich preparatów GMP refundowanych w tym okresie, otrzymując następujące odsetki: 33,4% w 2024 roku oraz 47,0% w 2025 roku.

Tabela 15.

Rzeczywiste rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 wśród wszystkich PKU Sphere refundowanych w latach 2024-2025

Parametr	2024	2025
Preparaty PKU Sphere refundowane przed rokiem 2024	1 000 500	1 117 650
Preparaty PKU Sphere refundowane od roku 2024	501 750	991 800
Łącznie	1 502 250	2 109 450
Rzeczywiste rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024	33,4%	47,0%

Odnosząc wyznaczone rzeczywiste rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 do uprzednio oszacowanego rozpowszechnienia hipotetycznego określono, że realnie w pierwszych dwóch latach refundacji nowe smaki PKU Sphere osiągnęły 56% oraz 78% rozpowszechnienia hipotetycznego.

Tabela 16.

Odsetek określający jaką część hipotetycznego rozpowszechnienia szacowanego dla preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 osiągnięto w rzeczywistości

Parametr	2024	2025	Źródło
Hipotetyczne rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024	60,0%	60,0%	Tabela 14
Rzeczywiste rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024	33,4%	47,0%	Tabela 15
Odsetek określający, jaką część hipotetycznego rozpowszechnienia osiągnięto w rzeczywistości	55,7%	78,4%	-

Następnie łącząc hipotetyczne rozpowszechnienie preparatu PKU GMPPro Delight (Tabela 13) oraz odsetek określający, jaka część hipotetycznego rozpowszechnienia może zostać realnie osiągnięta w pierwszych dwóch latach refundacji oszacowany na podstawie danych dla PKU Sphere (Tabela 16), określono prognozowane udziały PKU GMPPro Delight w horyzoncie czasowym analizy zgodnie z poniższą tabelą.

Tabela 17.

Prognozowane udziały PKU GMPPro Delight wśród preparatów GMP

Parametr	GMP smakowe		GMP ogółem	
	2027	2028	2027	2028
Hipotetyczne rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight	28,6%	28,6%	25,0%	25,0%

Parametr	GMP smakowe		GMP ogółem	
	2027	2028	2027	2028
Odsetek określający jaką część hipotetycznego rozpowszechnienia zostanie osiągnięta w rzeczywistości	55,7%	78,4%	55,7%	78,4%
Prognozowane rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight	15,9%	22,4%	13,9%	19,6%

Dodatkowo podjęto próbę określenia rozpowszechnienia wnioskowanego preparatu w sytuacji, gdy zastępowałby on zarówno preparaty GMP, jak i L-AA. W tym celu przeanalizowano dane sprzedażowe NFZ z lat 2024-2025, tj. z okresu, gdy lista refundowanych preparatów GMP smakowych została rozszerzona o nowe produkty PKU Sphere.

Dane sprzedażowe dotyczące liczby opakowań preparatów białkozastępczych refundowanych w latach 2024-2025 zaczerpnięto z serwisu IkarPro [14]. Następnie każdemu opakowaniu przypisano liczbę gramów białka w opakowaniu. Podsumowanie obliczeń przedstawiono poniżej, zaś szczegółowe oszacowania znajdują się w pliku obliczeniowym analizy na arkuszu 'Rozpowszechnienie'. W poniższej tabeli zestawiono liczbę gramów białka preparatów białkozastępczych zrefundowaną w analizowanym okresie (tj. w latach 2024-2025) według rodzaju preparatu białkozastępczego (GMP, L-AA skondensowane i nieskondensowane, z uwzględnieniem podziału na smakowe i bezsmakowe). Następnie oszacowano udział nowych preparatów GMP, przyrównując liczbę sprzedanych gramów białka w ramach nowych preparatów GMP do sprzedaży preparatów białkozastępczych w dwóch wariantach: z uwzględnieniem wszystkich preparatów białkozastępczych oraz z uwzględnieniem wyłącznie preparatów smakowych. Oszacowane w ten sposób udziały nowych preparatów GMP wśród wszystkich preparatów przedstawia poniższa tabela.

Tabela 18.
Liczba zrefundowanych gramów białka w latach 2024-2025 oraz oszacowane udziały nowych preparatów GMP

Rodzaj preparatu	Wszystkie preparaty		Preparaty smakowe	
	2024	2025	2024	2025
GMP, w tym	1 502 250	2 109 450	1 502 250	2 109 450
<i>bezsmakowe</i>	0	0	-	-
<i>smakowe refundowane od roku 2022</i>	1 000 500	1 117 650	1 000 500	1 117 650
<i>smakowe refundowane od roku 2024</i>	501 750	991 800	501 750	991 800
L-AA skondensowane, w tym	21 558 250	22 376 050	16 508 400	17 399 550
<i>bezsmakowe</i>	5 049 850	4 976 500	-	-
<i>smakowe</i>	16 508 400	17 399 550	16 508 400	17 399 550
L-AA nieskondensowane, w tym	7 451 086	7 398 758	6 297 429	6 180 271
<i>bezsmakowe</i>	1 153 657	1 218 488	-	-
<i>smakowe</i>	6 297 429	6 180 271	6 297 429	6 180 271

Rodzaj preparatu	Wszystkie preparaty		Preparaty smakowe	
	2024	2025	2024	2025
Razem preparaty białkozastępcze	30 511 586	31 884 258	24 308 079	25 689 271
Udział GMP	1,6%	3,1%	2,1%	3,9%

Jednocześnie możliwym jest, że część pacjentów stosujących obecnie bezsmakowe preparaty GMP lub smakowe/bezsmakowe preparaty L-AA z powodu nietolerancji aktualnie dostępnych smaków preparatów GMP smakowych, może zaakceptować smaki wnioskowanego preparatu i zmienić stosowany obecnie bezsmakowy preparat GMP lub preparat L-AA (smakowy/bezsmakowy) na preparat GMPPro Delight. W związku z tym w analizie wrażliwości szeroko testowano przyjęte założenie w ramach alternatywnych wariantów obliczeń zakładających:

- [REDACTED]

W wariantach B2 oraz B3 prognozowane udziały wnioskowanego preparatu określono na podstawie udziału nowych preparatów GMP w latach 2024-2025.

W poniższej tabeli podsumowano oszacowania prognozowanych udziałów PKU GMPPro Delight w pierwszym i drugim roku refundacji.

Tabela 19.
Prognozowany udziały preparatu GMPPro Delight po objęciu refundacją – podsumowanie

Wariant analizy	Zastępowanie / udział wśród	2027	2028	Źródło
Analiza podstawowa	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Analiza wrażliwości, wariant B1	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	
Analiza wrażliwości, wariant B2	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
Analiza wrażliwości, wariant B3	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	

* Preparaty L-AA oraz GMP

Powyższe założenia przekładają się na udziały poszczególnych grup preparatów w populacji docelowej zestawione w poniższej tabeli. [REDACTED]

Tabela 20.
 Udziały preparatów białkozastępczych w populacji docelowej – scenariusz nowy

Rodzaj preparatu	Analiza podstawowa		Wariant B1		Wariant B2		Wariant B3	
	2027	2028	2027	2028	2027	2028	2027	2028
PKU GMPPro Delight								
Pozostałe GMP, w tym:								
bezsmakowe								
smakowe								
L-AA skondensowane, w tym:								
bezsmakowe								
smakowe								
L-AA nieskondensowane, w tym:								
bezsmakowe								
smakowe								
Łącznie	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%	100%

2.7. Zużycie zasobów

Dzienne zapotrzebowanie organizmu na białko określają Zalecenia Polskiej Grupy ds. Fenylketonurii [15]. Zalecana dzienna podaż białka zależy od wieku chorego, a także od masy ciała pacjenta. Średnią ważoną zalecaną dawkę uwzględniającą powyższe parametry obliczono w następujących krokach:

- zapotrzebowanie na białko w poszczególnych grupach wiekowych określono na podstawie publikacji Żółkowska 2014 [15];
- masę ciała osób w wieku 0-14 lat zaczerpnięto z dokumentu *Waga osób w wieku 0-14 lat* opracowanego przez GUS [17], dla osób w wieku 15 lat i powyżej masę ciała wyznaczono w oparciu o dane GUS [18, 19] dotyczące średniego wzrostu i poziomu BMI w poszczególnych kategoriach wiekowych oraz struktury wiekowej populacji osób w wieku 15 lat i więcej zgodnie z najbardziej aktualnymi danymi GUS dotyczącymi 2024 roku [26];
- zgodnie z informacjami przedstawionymi w literaturze [15, 16] 80-85% zapotrzebowania na białko powinno pochodzić z preparatów białkozastępczych; uwzględniając udział preparatów białkozastępczych w całkowitej zalecanej podaży białka średnio na poziomie 82,5%, wyznaczono ilość białka, jaka powinna zostać dostarczona do organizmu za pomocą preparatów białkozastępczych;

- w analizie wrażliwości udział preparatów białkozastępczych w całkowitej zalecanej podaży białka przyjęto na poziomie 100% (wariant C1);
- strukturę wieku pacjentów powyżej 3. r.ż. określono w oparciu o dane NFZ [12] o liczbie pacjentów z rozpoznaniem PKU w 2018 roku (najnowsze dostępne dane NFZ o liczbie pacjentów w wieku powyżej 3 r.ż.);
- w analizie wrażliwości uwzględniono strukturę wieku w populacji generalnej Polski w 2024 roku (wariant D1).

Podsumowanie danych w zakresie zalecanej dobowej podaży białka, masy ciała, udziału preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka oraz struktury wieku pacjentów z PKU wykorzystanych w obliczeniach niniejszej analizy zestawiono w poniższej tabeli. Szczegółowe dane źródłowe i obliczenia przedstawiono w aneksie (rozdz. B.3.1)

Tabela 21.

Zalecana dobową podaż białka wg wieku, masa ciała wg wieku, udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka oraz struktura wieku pacjentów z PKU

Wiek	Zalecana dobową podaż białka /kg m.c. [g]	Średnia masa ciała	Udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka		Struktura wieku	
			Analiza podstawowa	AW, wariant C1	Analiza podstawowa	AW, wariant D1
3	2,2	16,3 kg	82,5%	100,0%	3,26%	0,91%
4	2,2	18,1 kg	82,5%	100,0%	3,26%	0,96%
5	1,9	20,1 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,03%
6	1,9	23,3 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,08%
7	1,9	26,4 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,13%
8	1,9	29,8 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,08%
9	1,9	32,7 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,06%
10	1,9	36,8 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,07%
11	1,3	41,8 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,05%
12	1,3	46,0 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,10%
13	1,3	51,7 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,10%
14	1,3	55,1 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,17%
15	1,3	63,3 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,18%
16	1,2	63,3 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,16%
17	1,2	63,3 kg	82,5%	100,0%	3,26%	1,08%
>=18	1,2	75,1 kg	82,5%	100,0%	51,15%	83,85%
Suma	-	-	-	-	100,00%	100,00%

Na podstawie danych prezentowanych w tabeli powyżej obliczono średnią ważoną dobową zalecaną dawkę białka w populacji docelowej. Wyniki przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 22.

Średnia zalecana dobową podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji pacjentów powyżej 3 r.ż. w zależności od wariantu obliczeń

Wariant analizy	Zmieniany parametr (wartość)	Średnia zalecana dobową dawka białka
Wariant podstawowy	-	59,8 g
AW, wariant C1	Udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka (założenie 100%)	72,5 g
AW, wariant D1	Struktura wieku pacjentów (dane GUS)	67,6 g

PKU jest chorobą wymagającą od pacjenta przestrzegania ściśle określonej i restrykcyjnej diety niskofenylalaninowej, która powinna być stosowana przez całe życie. Dane dotyczące rzeczywistej podaży białka z preparatów białkozastępczych odnaleziono w zagranicznych wytycznych praktyki klinicznej ESPKU - Wytyczne postępowania diagnostyczno-terapeutycznego u osób z PKU 2025 (rewizja wytycznych z 2017 roku) [27]. Wyniki opisanego przeglądu opublikowanych danych w tym zakresie przedstawiono poniżej.

Tabela 23.

Rzeczywista dobową dawka – odnalezione dane literaturowe

Wiek	Raportowana dobową dawka białka [g/kg m.c.]	Raportowana dobową dawka białka [g]
<6 miesięcy	2,7-3,1	17-24
<3 lata	2,0-2,2	-
4-10 lat	1,2-2,8	-
11-18 lat	1,1-1,6	-
18+ lat	1,1-1,4	-

W celu wyznaczenia stopnia przestrzegania diety przez pacjentów z populacji docelowej wyznaczono rzeczywistą dobową dawkę białka wynikającą z danych sprzedażowych. Obliczenia przeprowadzono w dwóch wariantach:

- z wykorzystaniem danych NFZ dotyczących liczby pacjentów ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż w latach 2017-2018 dostępnych w AWA Mevalia PKU Motion [12] (nie zidentyfikowano nowszych danych w tym zakresie) oraz danych sprzedażowych NFZ z tego samego okresu – zgodnie z metodyką przyjętą BIA do zlecenia 44/2025 [28];
- na podstawie danych NFZ z 2025 r. dotyczących liczby zrefundowanych gramów białka u pacjentów ≥ 3 r.ż. i prognoz w zakresie liczby pacjentów ≥ 3 r.ż. korzystających z preparatów w roku 2025 – zgodnie z obliczeniami analityków Agencji przedstawionymi w AWA do zlecenia 44/2025 [5].

Szczegółowe dane wykorzystane w obu wariantach obliczeń przedstawiono w aneksie, rozdz. B.3.2. W tabeli poniżej przedstawiono podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji docelowej

w podziale na wiek pacjenta w zależności od wariantu oszacowania rzeczywistej dobowej dawki białka.

Tabela 24.

Podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji docelowej według wieku pacjenta

Wiek	Zalecana dobową podaż białka [g]	Rzeczywista dobową dawkę białka (z uwzględnieniem compliance) [g]	
		Na podst. danych z lat 2017-2018	Na podst. danych i prognozy dla 2025 roku
3	28,9	20,8	21,2
4	32,1	23,1	23,5
5	30,7	22,1	22,5
6	35,6	25,6	26,0
7	40,3	29,0	29,5
8	45,5	32,8	33,3
9	49,9	36,0	36,5
10	56,2	40,5	41,1
11	44,8	32,3	32,8
12	49,3	35,6	36,1
13	55,4	40,0	40,6
14	59,1	42,6	43,2
15	67,9	48,9	49,7
16	60,1	43,3	44,0
17	60,1	43,3	44,0
≥18	71,3	51,4	52,2
Srednia	59,8	43,1	43,7

Jako że oszacowanie dobowej dawki białka na podstawie danych dla roku 2025 wymagało wykorzystania prognozy liczby pacjentów w wieku ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż, obarczone jest ono niepewnością. W związku z tym w obliczeniach niniejszej analizy wykorzystano dawkę wyznaczoną na podstawie danych z lat 2017-2018 (Tabela 57). Dawka wyznaczona dla roku 2025 została przedstawiona poglądowo. Należy zauważyć, że dawka w latach 2017-2018 oraz dawka oszacowana dla roku 2025 różnią się nieznacznie (43,1 g vs 43,7 g).

Niezależnie od wariantu obliczeń dawka oszacowana na podstawie sprzedaży jest niższa niż dawki zalecane (Tabela 22), co potwierdza, że pacjenci mają problemy z przestrzeganiem zaleceń dietetycznych. Biorąc pod uwagę zalecaną dobową dawkę białka oraz dzienną dawkę wynikającą ze sprzedaży, wyznaczono stopień przestrzegania zaleceń dietetycznych, zgodnie z poniższą tabelą.

Tabela 25.
Podaż białka w populacji docelowej uwzględniona w analizie w zależności od wariantu obliczeń

Wariant analizy	Zmieniany parametr (wartość)	Zalecana dobowa dawka białka	Rzeczywista dobowa dawka białka	Compliance
Wariant podstawowy	-	59,8 g		72,1%
AW, wariant C1	Udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka (założenie 100%)	72,5 g	43,1 g	59,5%
AW, wariant D1	Struktura wieku pacjentów (dane GUS)	67,6 g		63,7%

Wyznaczona wartość rzeczywistej dawki białka wynika z danych sprzedażowych, nie zaś z faktycznej ilości białka spożywanej przez pacjentów. Lekarze przepisują preparaty białkozastępcze zgodnie z zaleceniami / wytycznymi, ale zachowania pacjentów są różne i trudne do przewidzenia. Brak compliance może się przejawiać niższym zużyciem preparatów – pacjent realizuje mniej recept niż powinien, bo przepisana część preparatu zużywa wolniej, niż wynika to z wytycznych. Brak compliance u pacjentów z PKU może objawiać się pomijaniem przyjmowania porcji preparatów w ciągu dnia.

Należy zauważyć, że istotnym czynnikiem wspierającym długoterminowe przestrzeganie diety jest różnorodność dostępnych preparatów, która zmniejsza monotonię wieloletniego stosowania restrykcyjnej diety. Zwiększenie różnorodności dostępnych produktów pozwala lepiej dopasować leczenie do indywidualnych potrzeb pacjentów. Tym samym objęcie refundacją preparatu PKU GMPPro Delight w dwóch nowych smakach, niewystępujących w aktualnie refundowanych smakowych preparatach opartych na GMP może przyczynić się do poprawy sytuacji pacjentów z PKU, zwiększając szansę na prawidłowe przestrzeganie zaleceń dietetycznych – u części pacjentów może dojść do poprawy compliance. Jednak ze względu na brak danych pozwalających na wiarygodne oszacowanie poprawy przestrzegania zaleceń dietetycznych w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji refundacyjnej dla wnioskowanego preparatu, [REDAKTOWANE].

Jednocześnie w analizie wpływu na budżet dla preparatu PKU GMPPro do zlecenia 313/2020 wykorzystano opinie ekspertów klinicznych, na podstawie których oszacowano odsetek pacjentów, którzy w przypadku wprowadzenia refundacji nowego preparatu GMP zwiększą swoją dzienną dawkę białka przyjmowaną z preparatem białkozastępczym – odsetek ten określono na 60% [21]. W związku z tym w analizie wrażliwości przyjęto, że po wprowadzeniu refundacji produkt PKU GMPPro Delight, średnio 60% pacjentów będzie stosować pełną zalecaną dawkę białka z preparatów białkozastępczych (wariant E1).

Tabela 26.

Odsetek pacjentów, u których nastąpi poprawa compliance po wprowadzeniu PKU GMPPro Delight

Parametr	Analiza podstawowa	AW, wariant E1
Odsetek pacjentów, którzy zwiększą swoją dzienną dawkę białka (w przypadku refundacji analizowanego preparatu)	■	60%

Powyższe założenie oznacza, że pacjenci ci będą przyjmować dodatkowo dawkę PKU GMPPro Delight odpowiadającą różnicy pomiędzy zalecaną dawką a dawką przyjmowaną obecnie. Ilość białka spożywaną przez pacjenta w ramach uzupełnienia diety po wprowadzeniu finansowania PKU GMPPro Delight zamieszczono poniżej.

Tabela 27.

Uzupełnienie diety po wprowadzeniu finansowania PKU GMPPro Delight – wariant E1

Parametr	Analiza podstawowa
Zalecana dobową dawkę białka z preparatów białkozastępczych	■
Dobowa dawka białka wynikająca ze sprzedaży (rzeczywista dawka)	■
Uzupełnienie diety	■

2.8. Koszty

W niniejszej analizie uwzględniono jedynie koszty preparatów białkozastępczych, ponieważ nie określono innych kategorii kosztowych stanowiących koszty różnicujące dla porównywanych terapii.

2.8.1. Koszt PKU GMPPro Delight

W analizie założono, że w przypadku objęcia refundacją w rozważanym wskazaniu preparat PKU GMPPro Delight będzie finansowany w ramach wykazu refundowanych leków, śspz oraz wyrobów medycznych w kategorii dostępności refundacyjnej – środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępny w aptece na receptę (lista A2) we wskazaniu określonym stanem klinicznym: Fenyloketonuria (PKU) u pacjentów powyżej 3 roku życia, u których dobową tolerancja fenyloalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych i wydawany będzie świadczeniobiorcy za odpłatnością ryczałtową. Zgodnie z uzasadnieniem przedstawionym w rozdz. 1.3 przyjęto, że finansowanie preparatu odbywać się będzie w ramach grupy limitowej 216.25, w której finansowane są inne produkty pochodzenia naturalnego (GMP).

Cenę preparatu PKU GMPPro Delight określono zgodnie z informacjami otrzymanymi od Zamawiającego. Proponowana cena zbytu netto dla PKU GMPPro Delight (o smaku tropikalnym PKU GMPPro Delight Tropical i owoców jagodowych PKU GMPPro Delight Berry) wynosi:

- [REDACTED] za opakowanie złożone z 30 saszetek po 30 g produktu każda (zawierające 450 g ekwiwalentu białka),
- [REDACTED] za opakowanie złożone z 30 saszetek po 40 g produktu każda i zawierające 600 g ekwiwalentu białka.

Wnioskowaną cenę środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Delight przedstawiono w tabeli poniżej. Przy wyznaczeniu cen hurtowych brutto, zgodnie z obowiązującymi regulacjami prawnymi, przyjęto wartości marży hurtowej i podatku VAT (właściwego dla śsspż) na poziomie odpowiednio 6% i 5%.

Ze względu na przyjęte założenie odnośnie finansowania produktu PKU GMPPro Delight w grupie limitowej 216.25, cena detaliczna, wysokość limitu finansowania oraz poziom odpłatności płatnika i pacjenta zależy od sytuacji w całej grupie limitowej 216.25. Zgodnie z obowiązującym obwieszczeniem MZ [22], aktualnie produktem wyznaczającym podstawę limitu w grupie 216.25 jest PKU Sphere 20 o smaku waniliowym (EAN: 5060014059857). [REDACTED]

W analizie podstawowej koszty poszczególnych opakowań PKU GMPPro Delight określono przy założeniu, że podstawę limitu w grupie 216.25 wyznacza PKU Sphere 20 o smaku waniliowym. W ramach analizy wrażliwości w wariancie F1 koszty obliczono zakładając, że podstawę limitu wyznacza opakowanie PKU GMPPro Delight zawierające 30 saszetek po 30 g produktu, natomiast w wariancie F2 – PKU GMPPro Delight zawierające 30 saszetek po 40 g produktu. W scenariuszach analizy wrażliwości przyjęto upraszczająco, że w scenariuszu nowym preparat PKU GMPPro Delight będzie stanowił podstawę limitu w całym horyzoncie czasowym analizy, tj. od stycznia 2027 roku.

W poniższej tabeli przedstawiono informacje o cenie zbytu netto oraz wyznaczone pozostałe ceny i limit finansowania produktów PKU GMPPro Delight.

Tabela 28.
Koszt preparatu PKU GMPPro Delight w grupie limitowej 216.25

Preparat	Smak	Liczba g białka w opakowaniu	Cena zbytu netto	Cena hurtowa brutto	Cena detaliczna	Limit finansowania
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU Sphere 20 o smaku waniliowym						
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny	450 g	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	owoców jagodowych		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
	tropikalny	600 g	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Preparat	Smak	Liczba g białka w opakowaniu	Cena zbytu netto	Cena hurtowa brutto	Cena detaliczna	Limit finansowania
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	owoców jagodowych					
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu						
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny	450 g				
	owoców jagodowych					
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	tropikalny	600 g				
	owoców jagodowych					
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu						
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny	450 g				
	owoców jagodowych					
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	tropikalny	600 g				
	owoców jagodowych					

Smak tropikalny: PKU GMPPro Delight Tropical; smak owoców jagodowych: PKU GMPPro Delight Berry.

W kolejnej tabeli przedstawiono obliczone na podstawie powyższych cen koszty jednostkowe za 1 gram białka PKU GMPPro Delight.

Tabela 29.

Koszt jednostkowy PKU GMPPro Delight (za 1 g białka) w grupie limitowej 216.25

Preparat	Smak	Perspektywa NFZ	Perspektywa NFZ + pacjent
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU Sphere 20 o smaku waniliowym			
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu			
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu			
PKU GMPPro Delight (30 x 30 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		
PKU GMPPro Delight (30 x 40 g)	tropikalny		
	owoców jagodowych		

Smak tropikalny: PKU GMPPro Delight Tropical; smak owoców jagodowych: PKU GMPPro Delight Berry.

Ostatecznie w analizie wyznaczono średni koszt za gram białka PKU GMPPro Delight ważony udziałami opakowań PKU Sphere zawierających 450 g oraz 600 g białka w sprzedaży gramów białka w okresie 02.2025-01.2026. W obliczeniach uwzględniono wyłącznie smaki, które występowały w obu dawkach (nie uwzględniono preparatów PKU Sphere 20 o smaku bananowym oraz PKU Sphere 20 o smaku cytrynowym, które występują wyłącznie w opakowaniach zawierających 600 g białka). Podsumowanie przeprowadzonych obliczeń przedstawia poniższa tabela.

Tabela 30.
Udział wielkości opakowań wybranych preparatów PKU Sphere w sprzedaży gramów białka z tych opakowań

Smak	Liczba sprzedanych gramów białka		Udział w sprzedaży	
	Opak. zawierające 450 g białka	Opak. zawierające 600 g białka	Opak. zawierające 450 g białka	Opak. zawierające 600 g białka
Waniliowy	237 150	502 800	32%	68%
Czerwone owoce	91 350	327 000	22%	78%
Czekoladowy	153 000	501 000	23%	77%
Średnia			27%	73%

Wykorzystując przedstawione w tabeli powyżej odsetki wyznaczono średni koszt za 1 gram białka preparatu GMPPro Delight, wykorzystany w oszacowaniu wydatków płatnika publicznego / płatnika publicznego i pacjentów związanych z refundacją wnioskowanego produktu w scenariuszu nowym niniejszej analizy.

Tabela 31.
Średni koszt jednostkowy PKU GMPPro Delight (za 1 g białka) w grupie limitowej 216.25

Wariant obliczeń		Perspektywa NFZ	Perspektywa NFZ + pacjent
Analiza podstawowa	Podstawę limitu w grupie wyznacza PKU Sphere 20 o smaku waniliowym	■	■
Analiza wrażliwości, wariant F1	Podstawę limitu w grupie wyznacza PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu	■	■
Analiza wrażliwości, wariant F2	Podstawę limitu w grupie wyznacza PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu	■	■

2.8.2. Koszty pozostałych preparatów białkozastępczych

Zgodnie z aktualną praktyką kliniczną w populacji docelowej stosowane są zarówno preparaty GMP (smakowe i bezsmakowe), jak preparaty syntetyczne skondensowane (smakowe i bezsmakowe) i nieskondensowane (smakowe i bezsmakowe). Uwzględnione w niniejszej analizie preparaty, podział

na rodzaj preparatu oraz szczegółowe dane dotyczące cen poszczególnych preparatów zestawiono w aneksie w rozdziale Aneks C.

Koszt preparatów białkozastępczych wyznaczono na podstawie aktualnie obowiązującego Obwieszczenia MZ [22], jako cena za gram białka ważona liczbą sprzedanych jednostek (gramów białka) u osób powyżej 3. r.ż. w okresie 02.2025-01.2026 (sprzedaż z ostatnich 12 miesięcy, dla których dostępne są dane). Dla każdego preparatu białkozastępczego przypisano liczbę gramów białka w opakowaniu oraz udziały w sprzedanych śsspż stosowanych w fenylketonurii w populacji pacjentów powyżej 3. r. ż. (odsetki i ich sposób wyznaczenia przedstawiono w aneksie, rozdz. B.2.1).

W przypadku produktów pochodzenia naturalnego (GMP), koszty poszczególnych produktów przyjęto bezpośrednio na podstawie cen z Obwieszczenia, co odpowiada sytuacji, w której podstawę limitu w grupie 216.25 wyznacza PKU Sphere 20 o smaku waniliowym lub obliczono wychodząc od obowiązujących cen zbytu netto przy założeniu, że podstawę limitu w grupie 216.25 wyznacza PKU GMPPro Delight. W analizie podstawowej przyjęto, że zarówno w scenariuszu istniejącym, jak i nowym podstawę limitu w grupie limitowej 216.25 wyznaczać będzie preparat PKU Sphere 20 o smaku waniliowym. W ramach analizy wrażliwości przeprowadzono obliczenia zakładające, że w scenariuszu istniejącym podstawę limitu stanowić będzie preparat PKU Sphere 20 o smaku waniliowym, zaś w scenariuszu nowym, zgodnie z zakładanymi udziałami preparatów w scenariuszu istniejącym i nowym, podstawę limitu będzie wyznaczał preparat PKU GMPPro Delight. W wariancie F1 analizy wrażliwości założono, że podstawę limitu w grupie limitowej 216.25 będzie stanowiło opakowanie PKU GMPPro Delight zawierające 30 saszetek po 30 g produktu, zaś w wariancie F2 – opakowanie PKU GMPPro Delight zawierające 30 saszetek po 40 g produktu.

W poniższych tabelach zestawiono średnie koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych z podziałem na GMP smakowe, GMP bezsmakowe, syntetyczne skondensowane smakowe, syntetyczne skondensowane bezsmakowe, syntetyczne nieskondensowane smakowe i syntetyczne nieskondensowane bezsmakowe.

Tabela 32.
Koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych (za 1 g białka) uwzględnione w analizie – preparaty GMP

Rodzaj preparatu	Perspektywa NFZ	Perspektywa NFZ + pacjent
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU Sphere 20 o smaku waniliowym		
bezzmakowe	3,5318 zł	3,5424 zł
smakowe	3,5812 zł	3,5891 zł
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu		
bezzmakowe	██████	██████
smakowe	██████	██████
Podstawa limitu w grupie 216.25 wyznaczana przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu		
bezzmakowe	██████	██████
smakowe	██████	██████

Tabela 33.

Koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych (za 1 g białka) uwzględnione w analizie – preparaty L-AA

Rodzaj preparatu	Perspektywa NFZ	Perspektywa NFZ + pacjent
L-AA skondensowane, w tym		
bezsmałowe	1,4776 zł	1,4864 zł
smałowe	1,8874 zł	1,8933 zł
L-AA nieskondensowane, w tym		
bezsmałowe	3,0580 zł	3,0823 zł
smałowe	1,3761 zł	1,3959 zł

2.9. Analiza wrażliwości

Parametry uwzględnione w analizie BIA mogą podlegać zmianom w zależności od rozrzutu i niepewności oszacowań danych wejściowych. W związku z tym, przeprowadzono jednokierunkowe analizy wrażliwości, zakładające zmienność następujących parametrów:

- wariant A: liczby pacjentów z populacji docelowej,
- wariant B: zastępowania preparatów i rozpowszechnienia PKU GMPPro Delight,
- wariant C: udziału preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka,
- wariant D: struktury wieku pacjentów z populacji docelowej,
- wariant E: odsetka pacjentów, u których nastąpi poprawa compliance po wprowadzeniu refundacji PKU GMPPro Delight
- wariant F: preparatu ustalającego podstawę limitu w grupie limitowej 216.25 w scenariuszu nowym.

W jednokierunkowej analizie wrażliwości, we wszystkich wariantach analizy obliczono prognozowane wydatki w sytuacji, gdy jeden parametr podlegał zmianie, przyjmując wartość uwzględnioną w analizie wrażliwości, natomiast pozostałe zmienne przyjmowały wartości uwzględnione w analizie podstawowej. W ten sposób oszacowano, jaki wpływ na zmianę wydatków może mieć niepewność w oszacowaniu poszczególnych zmiennych.

Szczegółowe wyniki analizy wrażliwości oraz dane dotyczące zakresu zmienności poszczególnych parametrów uwzględnionych w analizie wrażliwości wraz z uzasadnieniem przedstawiono w aneksie (rozdz. A.1). Ponadto, w załączonym arkuszu kalkulacyjnym istnieje możliwość wygenerowania wyników analizy przy uwzględnieniu dowolnych wartości uwzględnionych parametrów.

3. Wyniki analizy

3.1. Populacja docelowa

Prognozowana liczba pacjentów z populacji docelowej wynosi 2 047 osób w roku 2027 oraz 2 070 osób w roku 2028. Liczebność populacji docelowej jest taka sama w scenariuszu istniejącym oraz w scenariuszu nowym.

W scenariuszu istniejącym żaden pacjent z populacji docelowej nie otrzymuje leczenia PKU GMPPro Delight. W scenariuszu nowym liczba pacjentów z populacji docelowej, którzy będą stosować PKU GMPPro Delight wyniesie [REDACTED]. Przedstawione w poniższej tabeli liczby pacjentów zostały wyznaczone przy założeniu, że każdy pacjent stosuje wyłącznie jeden preparat (PKU GMPPro Delight) lub jeden typ preparatów (GMP / L-AA skondensowane / L-AA nieskondensowane). W rzeczywistości pacjenci mogą stosować różne preparaty / typy preparatów jednocześnie i tym samym liczba pacjentów stosujących PKU GMPPro Delight, pozostałe preparaty GMP, czy preparaty L-AA (skondensowane jak i nieskondensowane) może być wyższa, niż wskazano w tabeli (jednak nie wyższa niż łączna liczebność populacji docelowej).

Szczegółowe dane dotyczące liczebności populacji docelowej oraz pacjentów objętych leczeniem w obu scenariuszach analizy przedstawia poniższa tabela.

Tabela 34.
Liczebność populacji docelowej w latach 2027-2028

Preparat	Scenariusz istniejący		Scenariusz nowy	
	2027	2028	2027	2028
PKU GMPPro Delight	■	■	■	■
Pozostałe GMP, w tym	■	■	■	■
Bezsmakowe	■	■	■	■
Smakowe	■	■	■	■
L-AA skondensowane, w tym	■	■	■	■
Bezsmakowe	■	■	■	■
Smakowe	■	■	■	■
L-AA nieskondensowane, w tym	■	■	■	■
Bezsmakowe	■	■	■	■
Smakowe	■	■	■	■
Łącznie	2 047	2 070	2 047	2 070

Przy założeniu, że w przypadku stosowania PKU GMPPro Delight cała dzienna dawka preparatów białkozastępczych dostarczana jest przez PKU GMPPro Delight

Tabela 37.
Wydatki inkrementalne płatnika publicznego i pacjentów - analiza podstawowa

Kategoria	Perspektywa NFZ		Perspektywa NFZ + pacjent	
	2027	2028	2027	2028
PKU GMPPro Delight				
Pozostałe GMP, w tym				
bezsmałowy				
smałowy				
L-AA skondensowane, w tym				
bezsmałowy				
smałowy				
L-AA nieskondensowane, w tym				
bezsmałowy				
smałowy				
Wydatki całkowite				

3.5. Podsumowanie

Poniżej w formie tabelarycznej przedstawiono podsumowanie wyników przeprowadzonej analizy wpływu na budżet.

Tabela 38.
Podsumowanie wyników analizy podstawowej – populacja docelowa

Liczba pacjentów	2027	2028
Liczba pacjentów z populacji docelowej stosujących preparat PKU GMPPro Delight*		
Scenariusz istniejący	0	0
Scenariusz nowy		
Liczebność populacji docelowej		
Scenariusz istniejący	2 047	2 070
Scenariusz nowy	2 047	2 070

* Przy założeniu, że w przypadku stosowania GMPPro Delight cała dzienna dawka preparatów białkozastępczych dostarczana jest przez GMPPro Delight

Tabela 39.

Podsumowanie wyników analizy podstawowej – wydatki płatnika publicznego i pacjentów

Liczba pacjentów	2027	2028
Wydatki płatnika publicznego		
Scenariusz istniejący	██████	██████
Scenariusz nowy	██████	██████
Wydatki inkrementalne	██████	██████
Wydatki płatnika publicznego i pacjentów		
Scenariusz istniejący	██████	██████
Scenariusz nowy	██████	██████
Wydatki inkrementalne	██████	██████

4. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia

4.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Preparat PKU GMPPro Delight podawany jest pacjentom doustnie w postaci roztworu powstałego w wyniku rozpuszczenia proszku w wodzie lub półpłynnych produktach spożywczych. Podawanie PKU GMPPro Delight nie wiąże się więc z dodatkowymi kosztami dotyczącymi wyposażenia placówek medycznych (sprzętowe, osobowe i inne) i nie generuje kosztów (stosowany jest przez pacjenta samodzielnie).

Wymogi dotyczące wyposażenia placówek medycznych (sprzętowe, osobowe i inne) w przypadku podawania produktu, monitorowania terapii oraz leczenia działań niepożądanych nie zmieniają się w przypadku finansowania PKU GMPPro Delight ze środków publicznych w stosunku do wymogów stawianych obecnie ośrodkom zajmującym się leczeniem pacjentów z PKU. W związku z tym ośrodki prowadzące aktualnie leczenie PKU będą w stanie prowadzić również terapię preparatem PKU GMPPro Delight.

Podjęcie decyzji o finansowaniu PKU GMPPro Delight ze środków publicznych nie powinno spowodować istotnych konsekwencji w wydatkach publicznych w innych sektorach niż ochrona zdrowia, dlatego nie przeprowadzano oddzielnej analizy w tym zakresie.

4.2. Aspekty etyczne i społeczne

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu PKU GMPPro Delight zwiększyłoby spektrum terapeutyczne pacjentom z populacji docelowej. Ze względów etycznych i społecznych (poprawa równości dostępu do świadczeń) należy rozważyć finansowanie PKU GMPPro Delight w populacji pacjentów z PKU powyżej 3. roku życia.

Tabela 40.

Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu PKU GMPPro Delight ze środków publicznych

Analiza aspektów etycznych i społecznych	
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle wyników analizy kosztów efektywności	
Czy koszty efektywności różnią się w poszczególnych podgrupach?	W analizie ekonomicznej nie wyróżniono podgrup pacjentów.
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Brak zidentyfikowanych grup.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów społecznych	
Zapewnienie równości dostępu pacjentów o zbliżonych potrzebach do badanej technologii	Finansowanie PKU GMPPro Delight pozwoli zapewnić równy dostęp do skutecznego leczenia dla wszystkich potrzebujących pacjentów.
Zaspokajanie niezaspokojonych dotychczas potrzeb grup społecznie upośledzonych	Rozszerzenie zakresu opcji terapeutycznych dostępnych dla pacjentów w ramach terapii jest krokiem w celu zaspokojenia potrzeb pacjentów, z możliwością indywidualnego doboru terapii.
Odpowiedź na potrzeby osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	
Zgodność z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie technologii jest zgodne z obowiązującym prawem.
Wpływ na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Zbliżona do alternatywnych technologii.
Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów etycznych	
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Zbliżona do alternatywnych technologii
Ryzyko niezaakceptowania terapii przez poszczególnych chorych	Zbliżona do alternatywnych technologii
Możliwość stygmatyzacji chorych	Zbliżona do alternatywnych technologii
Możliwość wywoływania lęku	Zbliżona do alternatywnych technologii
Możliwość powodowania dylematów moralnych	Zbliżona do alternatywnych technologii
Możliwość stwarzania problemów dotyczących płci lub rodzinnych	Zbliżona do alternatywnych technologii
Konieczność szczególnego informowania lub uzyskiwania zgody pacjenta na podanie produktu	Zbliżona do alternatywnych technologii
Potrzeba zapewnienia pacjentowi niekrępujących warunków lub poufności przy podaniu produktu	Zbliżona do alternatywnych technologii
Potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze terapii	Zbliżona do alternatywnych technologii
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta przy wyborze terapii	Zbliżona do alternatywnych technologii

5. Podsumowanie i wnioski

POPULACJA

Prognozowana liczba pacjentów z populacji docelowej wynosi 2 047 osób w roku 2027 oraz 2 070 osób w roku 2028. Liczebność populacji docelowej jest taka sama w scenariuszu istniejącym oraz w scenariuszu nowym.

W scenariuszu istniejącym żaden pacjent z populacji docelowej nie stosuje preparatu PKU GMPPro Delight w diecie eliminacyjnej w PKU. W scenariuszu nowym liczba pacjentów z populacji docelowej, którzy będą stosować PKU GMPPro Delight wyniesie [REDACTED].

SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

SCENARIUSZ NOWY

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

WYDATKI INKREMENTALNE

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

WNIOSKI

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Trudnym i ważnym dla prawidłowego rozwoju i funkcjonowania wyzwaniem dla pacjentów z PKU jest przestrzeganie zaleceń terapeutycznych (compliance). Kontrola choroby wymaga od pacjenta silnej woli i motywacji przez całe życie. Jako że produkt ma postać proszku dostępnego w 2 nowych wersjach smakowych (owoce tropikalne PKU GMPPro Delight Tropical i owoce jagodowe PKU GMPPro Delight Berry) wśród preparatów GMP, finansowanie PKU GMPPro Delight może przyczynić się do poprawy sytuacji pacjentów z PKU poprzez zwiększenie różnorodności dostępnych produktów i zmniejszenie monotonii wieloletniego stosowania restrykcyjnej diety. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Różnorodność produktów białkozastępczych stosowanych w PKU, w tym ich smaków, ma kluczowe znaczenie dla poprawy przestrzegania zaleceń dietetycznych przez pacjentów. Potrzebę zwiększania różnorodności tego typu produktów wskazywała Rada Przejrzystości przy AOTMiT oraz Prezes AOTMiT w opiniach i rekomendacjach dotyczących 2 syntetycznych preparatów niefenyloalaninowych [1–4]. Na duże oczekiwania pacjentów związane z dostępem do różnorodnych produktów białkozastępczych zwrócił uwagę przedstawiciel organizacji pacjentów chorych na PKU („ARS VIVENDI”) w opinii przedstawionej w Analizie Weryfikacyjnej dla produktu PKU GMPPro Mix-In opublikowanej w lipcu 2025 roku na BIP AOTMiT [5].

Podsumowując, wprowadzenie do refundacji nowego produktu opartego o GMP – produktu PKU GMPPro Delight, który odróżnia się od dotychczas refundowanych produktów GMP rodzajem dostępnych smaków [REDACTED], zwiększyłoby różnorodność białkozastępczych preparatów stosowanych u pacjentów z PKU. Tym samym pojawienie się nowego refundowanego

produktu mogłoby wpłynąć na zwiększenie poziomu przestrzegania restrykcyjnej diety pozostającej wciąż złotym standardem leczenia w PKU.

6. Ograniczenia

- Oszacowanie wydatków na preparaty białkozastępcze w scenariuszu istniejącym przeprowadzono w oparciu o prognozę historycznych danych sprzedażowych dla refundowanych preparatów białkozastępczych stosowanych w PKU. Wyznaczona w oparciu o oszacowane wydatki liczebność populacji docelowej w latach 2027-2028 jest wyższa niż wynika to z prognozy opartej na danych NFZ dotyczących liczby pacjentów stosujących śsspż refundowane w PKU i danych z badania Szypowska 2020 o częstotliwości występowania PKU w Polsce, i w tym kontekście szacowanie wydatków w oparciu o dane sprzedażowe jest założeniem konserwatywnym.
- Liczby pacjentów zostały wyznaczone przy założeniu, że każdy pacjent stosuje wyłącznie jeden preparat (PKU GMPPro Delight) lub jeden typ preparatów (GMP / L-AA skondensowane / L-AA nieskondensowane). W rzeczywistości pacjenci mogą stosować różne preparaty / typy preparatów jednocześnie i tym samym liczba pacjentów stosujących PKU GMPPro Delight, preparaty GMP, czy preparaty L-AA (skondensowane jak i nieskondensowane) może być wyższa niż wskazano (jednak nie wyższa niż łączna liczebność populacji docelowej). Powyższe nie jest jednak możliwe do oszacowania, biorąc pod uwagę, że oszacowania przeprowadzono głównie w oparciu o dane sprzedażowe.
- Z uwagi na relatywnie krótki okres dostępności preparatu PKU GMPPro Mix-In (refundacja od stycznia 2026 roku), brak jest danych sprzedażowych pozwalających na określenie rozpowszechnienia tego produktu w populacji docelowej. W związku z tym w obliczeniach wykorzystano prognozowaną sprzedaż tego preparatu oszacowaną w oparciu o prognozy rynkowe dostarczone przez Zamawiającego (szczegóły przedstawiono w rozdz. B.2.2).
- Rozpowszechnienie terapii w scenariuszu nowym określono na podstawie założeń oraz historycznych danych sprzedażowych dotyczących udziałów dotychczas finansowanych produktów GMP w rynku po ich włączeniu do refundacji ze środków publicznych. Przeprowadzono analizę wrażliwości w tym zakresie.

7. Dyskusja

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków płatnika publicznego (NFZ, Narodowy Fundusz Zdrowia) i pacjentów w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Delight stosowanego u osób powyżej 3. roku życia chorujących na fenylketonurię, u których dobową tolerancja fenylalaniny pozwala na zastosowanie preparatów glikomakropeptydowych.

Zgodnie z informacjami Instytutu Matki i Dziecka (IMiD) częstość występowania PKU w Polsce jest szacowana na 1:7000-1:8000 urodzeń żywych [25], co daje około 4,8 tys. pacjentów w wieku powyżej 3 lat z PKU rocznie. Należy mieć na uwadze, iż dane epidemiologiczne mogą nie odzwierciedlać rzeczywistej liczby pacjentów z PKU stanowiących populację docelową analizy. W praktyce część pacjentów mogła zaprzestać leczenia lub nie wymagać stosowania diet eliminacyjnych w łagodnej postaci choroby. Zgodnie z danymi NFZ przedstawionymi w AWA Mevalia PKU Motion do zlecenia 279/2019 [12] w 2018 roku w Polsce postawioną diagnozę PKU zgodnie z ICD-10: E70.0 miało 1 861 osób, z czego 1 613 osób to pacjenci w wieku ≥ 3 r.ż. Najnowsze dane NFZ w zakresie liczebności populacji z rozpoznaniem głównym lub współistniejącym ICD-10: E70.0 przedstawiono w AWA PKU Mix-In do zlecenia 44/2025 [5] wskazują, że liczba pacjentów z PKU ogółem (bez ograniczenia do populacji osób w wieku powyżej 3 r.ż.) w latach 2022-2024 wynosiła odpowiednio 2 002, 2 045 i 2 046 osób. Brak jest pełnych danych za rok 2025 (w AWA przedstawiono wyłącznie dane cząstkowe z okresu styczeń-maj 2025). Na podstawie danych z lat 2023-2024 wydaje się, że w ostatnich latach wzrost populacji chorych na PKU został spowolniony, co może wynikać z rokrocznie malejącej liczby urodzeń w Polsce. Należy jednak zauważyć, że wnioskowanie o odwróceniu trendu wzrostowego na podstawie danych z dwóch lat jest obarczone znaczną niepewnością.

Biorąc pod uwagę, że ostatnie dostępne dane NFZ dotyczące liczebności populacji pacjentów z rozpoznaniem PKU w wieku powyżej 3 r.ż. pochodzą z 2018 roku konieczne było przeprowadzenie prognozy liczebności tej populacji. Prognozy te przeprowadzono dwójako. W pierwszej wersji obliczeń posłużono się wspomnianymi danymi NFZ z 2018 roku dotyczącymi liczby pacjentów z PKU w wieku powyżej 3 r.ż. – zwiększając ją co roku o pacjentów osiagających 3 r.ż. z rozpoznaniem PKU zdiagnozowanym w okresie noworodkowym oszacowano populację pacjentów z PKU w wieku powyżej 3 r.ż. w horyzoncie czasowym analizy wynoszącą 2 009 oraz 2 044 osób odpowiednio w latach 2027-2028. Alternatywnie przeprowadzono prognozę sprzedaży preparatów białkozastępczych refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia, zaś prognozowaną liczbę gramów białka przeliczono na liczbę pacjentów z nich korzystających z wykorzystaniem oszacowanej rzeczywistej podaży białka z preparatów białkozastępczych przypadającej na jedną osobę z analizowanej populacji. Wyznaczona w ten sposób liczebność populacji docelowej obejmuje 2 038 oraz 2 061 osób odpowiednio w 1. i 2. roku horyzontu czasowego analizy. Finalnie w

obliczeniach podstawowych niniejszej analizy uwzględniono oszacowanie z wykorzystaniem prognozy danych sprzedażowych. Biorąc pod uwagę, że oszacowana w ten sposób liczebność populacji jest wyższa od liczebności wyznaczonej na podstawie danych NFZ dotyczące liczby pacjentów z rozpoznaniem PKU w wieku powyżej 3 r.ż., liczby urodzeń oraz zapadalności na PKU, obliczenia analizy w zakresie populacji docelowej należy uznać na konserwatywne.

Rozpowszechnienie analizowanych preparatów białkozastępczych w populacji docelowej w scenariuszu istniejącym określono na podstawie prognozy danych sprzedażowych NFZ. Należy zaznaczyć, że zużycie preparatów białkozastępczych w horyzoncie czasowym analizy zależy od indywidualnych potrzeb i preferencji pacjentów, w związku z czym przeprowadzone estymacje są obarczone niepewnością. Jednocześnie wydaje się, że mimo iż sprzedaż poszczególnych opakowań może podlegać znacznym fluktuacjom i jest trudna do przewidzenia, przewidywania dotyczące całkowitej sprzedaży gramów białka w podziale na rodzaj preparatu są względnie pewne.

[REDAKTOWANE]. Jako że większość chorych w Polsce ma klasyczną postać choroby charakteryzującą się niską tolerancją fenyloalaniny [5], preparaty oparte na GMP nie mogą stanowić 100% zalecanej podaży białka z preparatów białkozastępczych. Biorąc pod uwagę, że preparaty GMP są w Polsce refundowane od 2021 roku, można przypuszczać, że ustalona została pewna równowaga między zużyciem białka z preparatów GMP i L-AA, która potencjalnie nie zmieni się w sytuacji refundacji nowego preparatu GMP. Nowy preparat będzie rozszerzał listę dostępnych smaków dla pacjentów, którzy obecnie stosują już smakowe preparaty GMP. Jako że nie ma możliwości jednoznacznego określenia, jakie preparaty będą zastępowane przez PKU GMPPro Delight przeprowadzono szereg analiz wrażliwości w tym zakresie.

Należy podkreślić, że PKU jest chorobą wymagającą od chorego przestrzegania ściśle określonej i restrykcyjnej diety, która powinna być stosowana przez całe życie, co wymaga od pacjentów dużej motywacji, determinacji i silnej woli. Dużym problemem dla pacjentów z PKU jest przestrzeganie zaleceń dietetycznych (compliance). Z analizy sprzedaży tych preparatów w populacji pacjentów powyżej 3. roku życia stosujących śsspż w PKU wynika, że przyjmowana wraz z preparatami białkozastępczymi dzienna dawka ekwiwalentu białka stanowiła około 72% zalecanej dawki białka pochodzącej z preparatów białkozastępczych. Z badań wynika, że wchodzący w życie młodzi dorośli z PKU (po ukończeniu 18. roku życia) przestają przestrzegać ścisłej diety niskofenyloalaninowej, choć zdają sobie sprawę, że aktualne zalecenia wskazują na konieczność jej stosowania przez całe życie. Szacuje się, że nawet 70% dorosłych osób z PKU nie stosuje się ściśle do zaleceń dietetycznych [29–31]. Akceptowalność smakowa i zapachowa preparatów oraz ich różnorodność ma kluczowe znaczenie dla poprawy przestrzegania zaleceń dietetycznych przez pacjentów, jako że zmniejsza monotonię wieloletniego stosowania restrykcyjnej diety. Na potrzebę zwiększania różnorodności preparatów białkozastępczych wskazywała Rada Przejrzystości przy AOTMiT oraz Prezes AOTMiT w opiniach i rekomendacjach dotyczących preparatów PKU Express oraz PKU Cooler [1–4]. Na duże oczekiwania pacjentów związane z dostępem do różnorodnych produktów białkozastępczych zwrócił

także uwagę przedstawiciel organizacji pacjentów chorych na PKU („ARS VIVENDI”) w opinii przedstawionej w Analizie Weryfikacyjnej dla produktu PKU GMPPro Mix-In opublikowanej w lipcu 2025 roku na BIP AOTMiT [5].

Wprowadzenie do refundacji nowego produktu opartego o GMP – produktu PKU GMPPro Delight, który odróżnia się od dotychczas refundowanych produktów GMP, między innymi obecnością w jego składzie błonnika pokarmowego oraz rodzajem dostępnych smaków, zwiększyłoby różnorodność białkozastępczych preparatów stosowanych u pacjentów z PKU. W związku z tym wprowadzenie refundacji wnioskowanej technologii mogłoby wpłynąć na zwiększenie poziomu przestrzegania restrykcyjnej diety pozostającej wciąż złotym standardem leczenia w PKU.

8. Bibliografia

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 101/2013 r. w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler Red EAN 5060014051363 we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2013/102/SRP/U_18_290_130701_stanowisko_101_PKU_Cooler_10_Red_EAN_5060014051363_Bazowe.pdf.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 113/2013 z dnia 1 lipca 2013 r. w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 15 o smaku pomarańczowym EAN 5060014051738 we wskazaniu dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2013/103/SRP/U_18_292_130701_stanowisko_115_PKU_Express_15_pomarancowy_EAN_5060014051738.pdf.
3. Rekomendacja nr 76/2013 z dnia 1 lipca 2013 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych w sprawie objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2013/102/REK/RP_76_2013_PKU_Cooler.pdf.
4. Rekomendacja nr 77/2013 z dnia 1 lipca 2013 Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych w sprawie objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 roku życia, młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2013/103/REK/RP_77_2013_PKU_Express.pdf.
5. Analiza weryfikacyjna. Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro Mix In we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u chorych na fenyloketonurię powyżej 3 roku życia. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/044/AWA/44_OT.423.0.8.2025_PKU_GMPPro_Mix_In_AWA_BIP_REOPTR.pdf.
6. ██████████. (2026) Analiza problemu zdrowotnego. PKU GMPPro Delight stosowany w fenyloketonurii u osób powyżej 3. roku życia.
7. (2026) Raport refundacyjny - kwoty refundacji i pozostałe parametry określone w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń–grudzień 2025 r. Dostęp: <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/raport-refundacyjny,8903.html>.
8. PKU GMPPro Delight. Dostęp: [https://helsepersonell.nutricia.no/vare-produkter/gmp/pro/pku-gmp-pro-delight/\(3.3.2026\)](https://helsepersonell.nutricia.no/vare-produkter/gmp/pro/pku-gmp-pro-delight/(3.3.2026)).
9. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Dostęp: <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/download.xsp/WDU20111220696/U/D20110696Lj.pdf>.
10. GUS. Struktura ludności. Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/struktura-ludnosc,16,1.html>.
11. GUS. Prognoza ludności na lata 2023-2060. Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/prognoza-ludnosc/prognoza-ludnosc-na-lata-2023-2060,11,1.html>.
12. AOTMiT. (2019) Analiza weryfikacyjna. Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Mevalia PKU Motion we wskazaniu: Fenyloketonuria. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/279/AWA/ot.4330.18.2019_awa_mevalia_pku_motion_17_012020_bip.pdf.
13. Szypowska A, Franek E, Grzeszczak WJ, Zięba M, Filipow W, Kabcz P, Więckowska B, Sykut-Cegielska J, Taybert J. (2020) Treatment of classic phenylketonuria in Poland in the years 2009–2015 based on the database of the Polish National Health Fund. *Pediatr Endocrinol Diabetes Me* 26(3):118–124.
14. IkarPro. Dostęp: <https://ikarpro.pl/pl/#/>.
15. Żółkowska J. (2014) Postępowanie dietetyczne w klasycznej postaci fenyloketonurii. *Standardy Medyczne / Pediatria* 11:555–564.
16. Chrobot A. (2023) Co wiemy na temat fenyloketonurii? *Choroby rzadkie*.
17. GUS. Waga osób w wieku 0-14 lat. Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/zdrowie/zdrowie/waga-osob-w-wieku-0-14-lat,24,1.html>.

18. GUS. Stan zdrowia ludności Polski w 2009 r. Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/zdrowie/zdrowie/stan-zdrowia-ludnosci-polski-w-2009-r,6,5.html>.
19. GUS. Stan zdrowia ludności Polski w 2019 r. Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/zdrowie/zdrowie/stan-zdrowia-ludnosci-polski-w-2019-r-,6,7.html>.
20. AOTMiT. (2020) Analiza weryfikacyjna. Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU GMPPro we wskazaniu: Fenylketonuria u pacjentów powyżej 12. roku życia. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/313/AWA/313_AWA_OT.4330.20.2020_PKU_GMPPro_BIP_REOPTR.pdf.
21. (2020) Analiza wpływu na budżet. Preparat PKU GMPPro®, środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego w fenylketonurii dla osób od 12. roku życia. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2020/313/AW/313_AW_OT_4330_20_2020_PKU_GMPPro_BIA.pdf.
22. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 marca 2026 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 kwietnia 2026 r. - Ministerstwo Zdrowia - Portal Gov.pl. Dostęp: <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-17-marca-2026-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywnieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-kwietnia-2026-r>.
23. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto, o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie ceny zbytu netto leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego i wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu. Dostęp: <https://isap.sejm.gov.pl/isap.nsf/DocDetails.xsp?id=WDU20230002345>.
24. AOTMiT. (2016) Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA) Wersja 3.0. Dostęp: https://www.aotm.gov.pl/wp-content/uploads/2020/07/20160913_Wytyczne_AOTMiT-1.pdf.
25. Fenylketonuria - Zakład Badań Przesiewowych i Diagnostyki Metabolicznej - IMiD. Dostęp: <https://przesiew.imid.med.pl/fenylketonuria.html>.
26. GUS. Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym w 2024 r. (stan w dniu 31.12). Dostęp: <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/ludnosc/ludnosc/ludnosc-stand-i-struktura-ludnosci-oraz-ruch-naturalny-w-przekroju-terytorialnym-w-2024-r-stand-w-dniu-31-12,6,38.html>.
27. Wegberg AMJ van, MacDonald A, Ahring K, Bélanger-Quintana A, Beblo S, Blau N, Bosch AM, Burlina A, Campistol J, Coşkun T, Feillet F, Giżewska M, Huijbregts SC, Leuzzi V, Maillot F, et al. (2025) European guidelines on diagnosis and treatment of phenylketonuria: First revision. *Mol Genet Metab* 145(2):109125.
28. Analiza wpływu na budżet. PKU GMPPro Mix-In® stosowany w fenylketonurii u osób powyżej 3. roku życia. Dostęp: https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/044/AW/44_AW_PKU_GMPPro_Mix_In_OT.423.0.8.2025_BIA.pdf.
29. Kołodziejka A. Czynniki wpływające na jakość i skuteczność leczenia dietetycznego pacjentów z fenylketonurią, thesis, Department of Internal and Pediatric Nursing, 2018.
30. Jakie są najczęstsze problemy związane ze stosowaniem diety PKU i jak je rozwiązać? Dostęp: <https://www.vitapku.pl/zdrowie-i-zywienie/jakie-sa-najczestsze-problemy-zwiazane-ze-stosowaniem-diety-pku-i-jak-je>.
31. Morawska K, Starostecka E, Bąk-Romaniszyn L. (2018) Problemy w realizacji diety u osób chorych na fenylketonurię. *Pediatrica i Medycyna Rodzinna* 14(1):54–60.
32. Statystyka NFZ - Statystyka leki - Refundacja apteczna. Dostęp: <https://statystyki.nfz.gov.pl/PharmacyRefund>.

9. Spis tabel

Tabela 1.	Liczebność populacji docelowej w 2026 roku	11
Tabela 2.	Wydatki płatnika publicznego w populacji docelowej 2026 roku	11
Tabela 3.	Kwota refundacji preparatów stosowanych w PKU za okres styczeń-grudzień 2025 r.	12
Tabela 4.	Aktualna liczba pacjentów, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowania	13
Tabela 5.	Zestawienie źródeł danych wykorzystanych w niniejszej analizie	15
Tabela 6.	Liczba chorych ≥ 3 r. ż. z PKU – dane epidemiologiczne	18
Tabela 7.	Liczba pacjentów z PKU na podst. danych NFZ	19
Tabela 8.	Liczba urodzeń z PKU na podstawie danych NFZ i Szypowska 2020	19
Tabela 9.	Oszacowanie liczby pacjentów z PKU powyżej 3. r.ż. stosujących śsspż refundowane w PKU	20
Tabela 10.	Liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. stosujących śsspż refundowane w PKU na podstawie prognozy sprzedaży i wyznaczonej rzeczywistej podaży białka w populacji ≥ 3 r.ż.	21
Tabela 11.	Liczebność pacjentów z populacji docelowej w latach 2027-2028	22
Tabela 12.	Udziały preparatów białkozastępczych w populacji docelowej – scenariusz istniejący	23
Tabela 13.	Liczba dostępnych opcji smakowych (rozumianych jako smak lub brak smaku) oraz oszacowane na tej podstawie hipotetyczne rozpowszechnienie PKU GMPPro Delight	24
Tabela 14.	Liczba dostępnych opcji smakowych preparatów PKU Sphere oraz hipotetyczne rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 wśród wszystkich PKU Sphere refundowanych w latach 2024-2025	24
Tabela 15.	Rzeczywiste rozpowszechnienie preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 wśród wszystkich PKU Sphere refundowanych w latach 2024-2025	25
Tabela 16.	Odsetek określający jaką część hipotetycznego rozpowszechnienia szacowanego dla preparatów PKU Sphere refundowanych od roku 2024 osiągnięto w rzeczywistości	25
Tabela 17.	Prognozowane udziały PKU GMPPro Delight wśród preparatów GMP	25
Tabela 18.	Liczba zrefundowanych gramów białka w latach 2024-2025 oraz oszacowane udziały nowych preparatów GMP	26
Tabela 19.	Prognozowany udziały preparatu GMPPro Delight po objęciu refundacją – podsumowanie	27
Tabela 20.	Udziały preparatów białkozastępczych w populacji docelowej – scenariusz nowy	28
Tabela 21.	Zalecana dobową podaż białka wg wieku, masa ciała wg wieku, udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka oraz struktura wieku pacjentów z PKU	29
Tabela 22.	Średnia zalecana dobową podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji pacjentów powyżej 3 r.ż. w zależności od wariantu obliczeń	30
Tabela 23.	Rzeczywista dobową dawkę – odnalezione dane literaturowe	30
Tabela 24.	Podaż białka z preparatów białkozastępczych w populacji docelowej według wieku pacjenta	31
Tabela 25.	Podaż białka w populacji docelowej uwzględniona w analizie w zależności od wariantu obliczeń	32
Tabela 26.	Odsetek pacjentów, u których nastąpi poprawa compliance po wprowadzeniu PKU GMPPro Delight	33
Tabela 27.	Uzupełnienie diety po wprowadzeniu finansowania PKU GMPPro Delight – wariant E1	33
Tabela 28.	Koszt preparatu PKU GMPPro Delight w grupie limitowej 216.25	34
Tabela 29.	Koszt jednostkowy PKU GMPPro Delight (za 1 g białka) w grupie limitowej 216.25	35
Tabela 30.	Udział wielkości opakowań wybranych preparatów PKU Sphere w sprzedaży gramów białka z tych opakowań	36
Tabela 31.	Średni koszt jednostkowy PKU GMPPro Delight (za 1 g białka) w grupie limitowej 216.25	36
Tabela 32.	Koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych (za 1 g białka) uwzględnione w analizie – preparaty GMP	37
Tabela 33.	Koszty jednostkowe preparatów białkozastępczych (za 1 g białka) uwzględnione w analizie – preparaty L-AA	38
Tabela 34.	Liczebność populacji docelowej w latach 2027-2028	39
Tabela 35.	Wydatki płatnika publicznego i pacjentów – analiza podstawowa, scenariusz istniejący	40
Tabela 36.	Wydatki płatnika publicznego i pacjentów – analiza podstawowa, scenariusz nowy	41
Tabela 37.	Wydatki inkrementalne płatnika publicznego i pacjentów - analiza podstawowa	42

Tabela 38.	Podsumowanie wyników analizy podstawowej – populacja docelowa	42
Tabela 39.	Podsumowanie wyników analizy podstawowej – wydatki płatnika publicznego i pacjentów	43
Tabela 40.	Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu PKU GMPPro Delight ze środków publicznych	45
Tabela 41.	Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 24.10.2023 r. dla analizy wpływu na budżet	57
Tabela 42.	Parametry jednokierunkowej analizy wrażliwości	59
Tabela 43.	Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości	60
Tabela 44.	Wydatki płatnika publicznego i pacjentów - analiza wrażliwości	61
Tabela 45.	Prognoza liczby urodzeń i liczby ludności ≥ 3 lat	63
Tabela 46.	Liczba pacjentów z PKU – AWA Mevalia PKU Motion [12]	64
Tabela 47.	Liczba pacjentów z PKU – AWA GMPPro [20]	64
Tabela 48.	Liczba pacjentów z PKU – AWA GMPPro Mix-In [5]	64
Tabela 49.	Przedziały wiekowe kwalifikujące do spożywania danego preparatu	65
Tabela 50.	Udział zapotrzebowania na białko grupy wiekowej pacjentów z PKU w zapotrzebowaniu na białko wszystkich chorych w grupie pacjentów 1-6	66
Tabela 51.	Udział sprzedaży w populacji pacjentów powyżej 3 r. ż.	66
Tabela 52.	Prognoza sprzedaży GMPPro Mix-In w kolejnych latach refundacji oraz założenie dotyczące zastępowania preparatów	68
Tabela 53.	Prognozowana liczba sprzedanych gramów białka w latach 2027-2028 w populacji pacjentów w wieku powyżej 3 r.ż. z uwzględnieniem prognozy sprzedaży preparatu GMPPro Mix-In	68
Tabela 54.	Zalecana podaż białka u chorych na fenylketonurię [15]	69
Tabela 55.	Masa ciała chorych na PKU, zalecana dobową podaż białka względem wieku pacjenta	69
Tabela 56.	Rozkład chorych na PKU powyżej 3 r.ż. względem ich wieku	70
Tabela 57.	Dobowa dawka białka wynikająca ze sprzedaży na podst. danych z lat 2017-2018	71
Tabela 58.	Dobowa dawka białka wynikająca ze sprzedaży na podst. danych sprzedażowych NFZ oraz prognoz w zakresie liczby pacjentów dla roku 2025	72
Tabela 59.	Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU Sphere 20 o smaku waniliowym	74
Tabela 60.	Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu	75
Tabela 61.	Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu	76
Tabela 62.	Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty syntetyczne skondensowane	77
Tabela 63.	Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty syntetyczne nieskondensowane	81

10. Zestawienie weryfikacyjne

analizy ze względu na minimalne

wymagania Ministerstwa Zdrowia

Tabela 41.

Wskazanie spełnienia minimalnych wymagań Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 24.10.2023 r. dla analizy wpływu na budżet

Wymagania	Rozdział
§ 3.	
Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.	Dane w zakresie cen oraz sposobu finansowania ocenianych technologii są aktualne na dzień złożenia wniosku
§ 6.1 Analiza wpływu na budżet zawiera:	
1. Oszacowanie rocznej liczebności populacji:	
• obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,	Rozdz. 1.2.5
• docelowej, wskazanej we wniosku,	Rozdz. 1.2.2 oraz 2.5
• w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana,	Rozdz. 1.2.4
2. oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...)	Rozdz. 3.1
3. oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...) ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje;	Rozdz. 1.2.3
4. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), 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 (...)	Rozdz. 3.2
5. ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), 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 (...)	Rozdz. 3.3
6. oszacowanie dodatkowych wydatków (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami (...)	Rozdz. 3.4
7. minimalny i maksymalny wariant oszacowania (...)	Rozdz. A.1.3

Wymagania	Rozdział
8. zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...)	Rozdz. 2
9. wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...), w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu,	Rozdz. 1.3 i 1.4
10. dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania (...) oraz prognozy (...)	Załącznik analizy
§ 6.2.	
Oszacowania (...) oraz prognozy (...) dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet.	Rozdz. 2.4
§ 6.3.	
Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonuje się w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. (...). Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane.	Rozdz. 2.5
§ 6.4	
Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (...), oszacowania (...) oraz prognozy (...) powinny być przedstawione w następujących wariantach:	z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka. bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka.
	Nie dotyczy
§ 7.1	
W analizach, o których mowa (...) wnioskodawca prezentuje oszacowania uwzględniające włączenie wnioskowanej technologii do istniejącej grupy limitowej albo oszacowania uwzględniające utworzenie nowej grupy limitowej	Rozdz. 1.3
§ 7.2	
W przypadku gdy istnieją przesłanki do utworzenia nowej, odrębnej grupy limitowej i wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analizy (...) zawierają dodatkowo dowody uzasadniające utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej wraz z dodatkowymi oszacowaniami (...)	Rozdz. 1.3
§ 8. Analizy, o których mowa w § 1, muszą zawierać:	
dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji.	Rozdz. 8
wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii.	

Aneks A.

A.1. Analiza wrażliwości

A.1.1. Warianty analizy wrażliwości

W analizie wrażliwości przedstawiono, w jakim zakresie mogą się zmieniać wydatki płatnika publicznego, jeśli zmianie będą podlegały parametry, których nie udało się oszacować z wystarczającą precyzją lub pewnością.

Poniżej w formie tabelarycznej przedstawiono parametry podlegające zmianie w poszczególnych wariantach analizy wrażliwości, wraz z zakresem zmian oraz ich uzasadnieniem.

Tabela 42.
Parametry jednokierunkowej analizy wrażliwości

Parametr	Wariant	Wartość parametru w kolejnych latach		Uzasadnienie
		2027	2028	
Liczba pacjentów z populacji docelowej	A0	2 047	2 070	Rozdz. 2.5
	A1	2 009	2 044	
Udziały i zastępowanie preparatów przez PKU GMPPro Delight w scenariuszu nowym	B0			Rozdz. 2.6.2
	B1			
	B2			
	B3			
Udział preparatów białkozastępczych w zalecanej podaży białka	C0	82,5%		Rozdz. 2.7
	C1	100,0%		
Struktura wieku pacjentów z PKU	D0	Dane NFZ		Rozdz. 2.7
	D1	Dane GUS		
Odsetek pacjentów, u których nastąpi poprawa compliance po wprowadzeniu PKU GMPPro Delight	E0			Rozdz. 2.7
	E1	60%		

Parametr	Wariant	Wartość parametru w kolejnych latach		Uzasadnienie
		2027	2028	
Podstawa limitu w grupie limitowej 216.25	F0	Preparat PKU Sphere 20 o smaku waniliowym		Rozdz. 2.8
	F1	Preparat PKU GMPPro Delight, opakowanie 30 saszetek po 30 g		
	F2	Preparat PKU GMPPro Delight, opakowanie 30 saszetek po 40 g		

Poniżej przedstawiono wyniki jednokierunkowych analiz wrażliwości.

A.1.2. Wyniki analizy wrażliwości

WYDATKI PŁATNIKA PUBLICZNEGO

Tabela 43.
Wydatki płatnika publicznego - analiza wrażliwości

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2027	2028	2027	2028
Analiza podstawowa	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
A1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B2	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B3	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
C1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
D1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
E1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2027	2028	2027	2028
F1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
F2	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				

WYDATKI PŁATNIKA PUBLICZNEGO I PACJENTÓW

Tabela 44.
Wydatki płatnika publicznego i pacjentów - analiza wrażliwości

Wariant	Kategoria	Scenariusz nowy		Wydatki inkrementalne	
		2027	2028	2027	2028
Analiza podstawowa	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
A1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B2	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
B3	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
C1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
D1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
E1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
F1	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				
F2	Wydatki na GMPPro Delight				
	Wydatki całkowite				

A.1.3. Podsumowanie

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

Aneks B.

B.1. Populacja docelowa

B.1.1. Dane demograficzne

Polskie dane demograficzne oraz prognoza ludności Polski określone zostały w oparciu o publikowane dane GUS. W pierwszej kolejności określono liczbę żywych urodzeń oraz liczbę ludności Polski w wieku ≥ 3 r.ż. na lata 2016-2024 [10]. Dane z lat wcześniejszych niezbędne były do określenia liczby urodzonych dzieci, u których zdiagnozowana będzie fenyloketonuria na podstawie badań przesiewowych w kolejnych latach analizy. W kolejnym kroku uwzględniono prognozę GUS na lata 2025-2028 w wariantcie niskim [11]. Poniżej zaprezentowano dane zbiorcze.

Tabela 45.
Prognoza liczby urodzeń i liczby ludności ≥ 3 lat

Rok	Liczba żywych urodzeń	Liczba ludności ≥ 3 lat	Komentarz
2016	382 254	37 311 500	Dane rzeczywiste
2017	401 874	37 283 600	
2018	388 287	37 243 300	
2019	375 063	37 223 600	
2020	355 309	36 978 400	
2021	331 511	36 854 500	
2022	305 237	36 782 941	
2023	301 907	36 730 679	
2024	251 782	36 665 667	Prognoza ludności na lata 2023-2060, wariant niski
2025	272 855	36 421 351	
2026	264 982	36 257 081	
2027	257 952	36 115 998	
2028	252 117	35 974 744	

B.1.2. Liczba leczonych pacjentów z PKU – dane NFZ

Dane na temat liczby leczonych pacjentów z PKU znajdują się w analizach weryfikacyjnych do zleceń 279/2019 [12], 313/2020 [20] oraz 44/2025 [5], dotyczących objęcia refundacją odpowiednio środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego Mevalia PKU Motion, GMPPro oraz GMPPro Mix-In we wskazaniu fenylketonuria. W ramach przytoczonych opracowań przedstawiono dane NFZ dotyczące liczby pacjentów (niepowtarzające się numery PESEL) z rozpoznaniem ICD-10: E70.0 (klasyczna fenylketonuria) w latach 2017-2025 (do maja 2025).

Tabela 46.
Liczba pacjentów z PKU – AWA Mevalia PKU Motion [12]

Parametr	2017	2018
liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0	1839	1861
liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0	1584	1613
Liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż we wnioskowanym wskazaniu	1621	1596

Tabela 47.
Liczba pacjentów z PKU – AWA GMPPro [20]

Parametr	2018	2019	2020*
liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0	1861	1948	1630
liczba pacjentów w wieku od 12 do 18 r.ż.	251	248	207
liczba pacjentów w wieku ≥ 18 r.ż.	825	891	718

*dane za okres od stycznia do czerwca

Tabela 48.
Liczba pacjentów z PKU – AWA GMPPro Mix-In [5]

Parametr	2019	2020	2021	2022	2023	2024	2025*
liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0	1855	1816	1843	2002	2045	2046	1291

*dane za okres od stycznia do maja

Należy zauważyć, że w okresie, dla którego dostępne są dane, liczba leczonych pacjentów z PKU co roku uległa zwiększeniu (poza okresem pandemii COVID-19 w latach 2020-2021). Na podstawie danych z Tabela 46 oszacowano, że pacjenci w wieku powyżej 3. r.ż. stanowili około 86% wszystkich pacjentów z rozpoznaniem PKU w latach 2017-2018 (liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0 / liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10: E70.0).

B.2. Sprzedaż preparatów białkozastępczych

B.2.1. Sprzedaż w grupie wiekowej powyżej 3. r.ż.

Populację docelową stanowią pacjenci z PKU powyżej 3. r.ż. W związku z tym w niniejszej analizie uwzględniono preparaty, które zgodnie ze wskazaniami refundacyjnymi mogą być stosowane również przez pacjentów w wieku < 3 r. ż. zestawione w tabeli poniżej.

Tabela 49.
Przedziały wiekowe kwalifikujące do spożywania danego preparatu

Grupa limitowa	Nazwa handlowa	Minimalny zalecany wiek*	Maksymalny zalecany wiek*	Udział w populacji pacjentów powyżej 3 r.ż.
216.25	PKU Sphere (8 eanów)	4	-	100%
216.25	PKU GMPPro Mix-In	3	-	100%
216.5	milupa pku 3 advanta	15	-	100%
216.8	milupa pku 2 prima	1	18	Oszacowania (Tabela 51)
216.11	milupa pku 2 secunda	8	-	100%
216.14	Lophlex (3 eany)	8	-	100%
216.19	PKU Lophlex LQ (10 eanów)	4	-	100%
216.20	PKU Cooler (15 eanów)	3	-	100%
216.21	PKU Express (8 eanów)	3	-	100%
216.22	PKU Gel (3 eany)	0,5	10	Oszacowania (Tabela 51)
216.24	Mevalia PKU Motion (4 eany)	3	-	100%
216.9	PKU Anamix junior (5 eanów)	1	10	Oszacowania (Tabela 51)
216.10	Milupa pku 2 mix	1	18	Oszacowania (Tabela 51)
216.12	Milupa pku 2 shake (2 eany)	8	-	100%
216.13	Phenyl-Free 2	1	-	Oszacowania (Tabela 51)
216.15	Easiphen	8	-	100%
216.16	Phenyl-Free 2HP	1	-	Oszacowania (Tabela 51)
216.17	XP Maxamum	8	-	100%

* określony w latach

W celu określenia sprzedaży preparatów białkozastępczych w populacji docelowej skorzystano z danych raportowanych w statystykach NFZ. Najnowsze dane dostępne są za 2024 rok i umożliwiają wygenerowanie zestawień m.in. z podziałem na następujące grupy wiekowe: <1 roku, 1-6 lat, 7-17 lat, 18-40 lat, 41-60 lat, 61-80 lat oraz >80 lat [32].

Dla każdego opakowania oszacowano liczbę sprzedanych gramów białka z podziałem na grupy wiekowe: <1 roku, 1-6 lat, 7-17 lat, 18-40 lat, 41-60 lat, 61-80 lat oraz >80 lat (przyjmując liczbę

gramów białka zawartą w analizowanych opakowaniach wskazaną w Tabeli 59, Tabela 62 oraz Tabela 63). Następnie dokonano podziału grupy pacjentów 1-6 na dwie grupy wiekowe: 1-2 i 3-6. W tym celu określono dobową podaż białka dla wieku od 1 roku do 6 lat włącznie, uwzględniając dzienne zapotrzebowanie na białko w zależności od wieku i masy ciała pacjenta, na podstawie Zaleceń Polskiej Grupy ds. Fenyloketonurii (szczegółowe dane w rozdz. B.3). Następnie, zakładając równomierny rozkład pacjentów w wieku 1-6, oszacowano udziały zapotrzebowania na białko w przedziale wiekowym n ($n=1, 2, \dots, 6$) dla pacjentów z PKU w zapotrzebowaniu wszystkich pacjentów w przedziale 1-6. Wyniki przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 50.
Udział zapotrzebowania na białko grupy wiekowej pacjentów z PKU w zapotrzebowaniu na białko wszystkich chorych w grupie pacjentów 1-6

Wiek	Zalecana podaż białka (g / kg m. c.)	Średnia masa ciała (kg)	Dobowa podaż białka (g)	Odsetek
1	2,2	11,2	24,1	12%
2	2,2	13,7	29,5	14%
3	2,2	16,3	35,0	17%
6	2,2	18,1	38,9	19%
5	1,9	20,1	37,2	18%
6	1,9	23,3	43,1	21%
3-6	-	-	-	74%

Przy uwzględnionych założeniach udział zapotrzebowania na białko w grupie 3-6 stanowi 74% całkowitego zapotrzebowania białka w grupie 1-6. Poniższa tabela przedstawia oszacowany udział sprzedanych gram białka w populacji docelowej, tj. pacjentów powyżej 3 r.ż. dla preparatów, które zgodnie ze wskazaniami refundacyjnymi mają szerszą populację.

Tabela 51.
Udział sprzedaży w populacji pacjentów powyżej 3 r. ż.

Grupa limitowa	Nazwa handlowa	Liczba gramów białka w grupach wiekowych			Udział gramów białka w populacji pacjentów powyżej 3 r.ż.
		1-2	3-6	Wszystkie grupy	
216.8	milupa pku 2 prima	201 350	580 150	1 105 800	82%
	PKU Gel o smaku pomarańczowym	23 884	68 816	147 600	84%
216.22	PKU Gel o smaku malinowym	52 946	152 554	246 300	78%
	PKU Gel o smaku neutralnym	72 579	209 121	347 700	74%

Grupa limitowa	Nazwa handlowa	Liczba gramów białka w grupach wiekowych			Udział gramów białka w populacji pacjentów powyżej 3 r.ż.
		1-2	3-6	Wszystkie grupy	
216.9	PKU Anamix junior (o smaku waniliowym)	32 695	94 205	274 800	88%
	PKU Anamix junior (o smaku neutralnym)	38 029	109 571	238 800	84%
	PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym)	3 556	10 244	55 800	94%
	PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym)	8 116	23 384	72 300	89%
	PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych)	37 719	108 681	273 900	86%
216.10	Milupa pku 2 mix	104 736	301 776	793 800	87%
216.13	Phenyl-Free 2	167 140	481 580	1 613 661	90%
216.16	Phenyl-Free 2HP	91 097	262 478	3 318 740	97%

B.2.2. Prognoza sprzedaży preparatów białkozastępczych

Prognozę sprzedaży śssp stosowanych w fenyloketonurii uwzględnionych w niniejszej analizie (patrz aneks, rozdz. Aneks C) oparto na danych NFZ dotyczących liczby sprzedanych opakowań poszczególnych preparatów stosowanych w PKU w okresie od stycznia 2021 do stycznia 2026 (dane miesięczne) [14]. Do danych dopasowano trend logarytmiczny, a w przypadku, gdy trudno wskazać wyraźną tendencję bądź trend w obrębie analizowanych wartości, zastosowano średnią z ostatnich 12 miesięcy i dokonano prognozy na lata 2027-2028 dla każdego preparatu osobno. Następnie każdemu opakowaniu przypisano liczbę gramów białka znajdującą się w opakowaniu oraz określono, jaka część gramów białka sprzedanych w ramach poszczególnych opakowań dotyczyła populacji powyżej 3. r.ż. (zgodnie z oszacowaniem przedstawionym w Tabela 51). Szczegółowe oszacowania są dostępne w pliku obliczeniowym analizy na arkuszu 'Populacja'.

Wyjątkiem jest preparat GMPPro Mix-In, który refundowany jest od stycznia 2026. W związku z tym dostępne dane statystyczne na temat jego sprzedaży są istotnie ograniczone, a prognozę sprzedaży przeprowadzono w oparciu o prognozy rynkowe dostarczone przez Zamawiającego. Prognozy te zakładają sprzedaż [REDACTED]. Do prognozowanej liczby gramów białka ze sprzedaży GMPPro Mix-In w pierwszych dwóch latach refundacji dopasowano trend logarytmiczny i zaprognozowano sprzedaż w kolejnych miesiącach roku 2028.

Podsumowanie prognoz sprzedaży GMPPro Mix-In oraz założenia dotyczące zastępowania pozostałych preparatów wykorzystane w niniejszej analizie przedstawia poniższa tabela, zaś szczegółowe dane i oszacowania dostępne są w pliku obliczeniowym (arkusz 'Populacja', sekcja 'Prognoza sprzedaży preparatu GMPPro Mix In').

Tabela 52.

Prognoza sprzedaży GMPPro Mix-In w kolejnych latach refundacji oraz założenie dotyczące zastępowania preparatów

Parametr	2026	2027	2028*	Założenie dotyczące zastępowania pozostałych preparatów
Prognozowana liczba gramów białka ze sprzedaży GMPPro Mix-In				

* Wartość roczna wyznaczona na podstawie prognozy dla kolejnych miesięcy refundacji w oparciu o liczbę gramów białka ze sprzedaży GMPPro Mix-In w latach 2026-2027

Oszacowaną liczbę sprzedanych gramów białka w latach 2027-2028 w podziale na preparaty GMP bezsmakowe i smakowe, syntetyczne skondensowane bezsmakowe i smakowe oraz syntetyczne nieskondensowane bezsmakowe i smakowe z uwzględnieniem prognozy sprzedaży GMPPro Mix-In zamieszczono w poniższej tabeli. Podział preparatów GMP, syntetyczne skondensowane i syntetyczne nieskondensowane na bezsmakowe i smakowe przedstawiono odpowiednio w Tabeli 59, Tabeli 62 oraz Tabeli 63.

Tabela 53.

Prognozowana liczba sprzedanych gramów białka w latach 2027-2028 w populacji pacjentów w wieku powyżej 3 r.ż. z uwzględnieniem prognozy sprzedaży preparatu GMPPro Mix-In

Rodzaj preparatu	2027	2028
GMP, w tym		
bezsmakowe		
smakowe		
L-AA skondensowane, w tym		
bezsmakowe		
smakowe		
L-AA nieskondensowane, w tym		
bezsmakowe		
smakowe		
Razem	32 203 889	32 570 199

B.3. Dzienna podaż białka

B.3.1. Zalecana dobową podaż białka

Dzienne zapotrzebowanie organizmu na białko określają Zalecenia Polskiej Grupy ds. Fenylketonurii z 2006 r. [15]. Zalecaną dobową podaż białka w zależności od wieku chorego przedstawiono w poniższej tabeli. W analizie uwzględniono średnią wartość podaży ze wskazanego przedziału.

Tabela 54.

Zalecana podaż białka u chorych na fenylketonurię [15]

Grupa wiekowa	Zalecana podaż białka / dobę	Wartość uwzględniona w analizie
Poniżej 1. r.ż.	2,5-3,0 g/kg m. c.	2,8 g/kg m. c.
1-4 r.ż.	1,8-2,5 g/kg m. c.	2,2 g/kg m. c.
4-10 r.ż.	1,7-2,0 g/kg m. c.	1,9 g/kg m. c.
10-15 r.ż.	1,1-1,5 g/kg m. c.	1,3 g/kg m. c.
Powyżej 15. r.ż.	1,0-1,3 g/kg m. c.	1,2 g/kg m. c.

m. c. masa ciała

Podaż białka zależy od masy ciała chorych na fenylketonurię. Masę ciała w zależności od wieku pacjenta określono na podstawie danych dotyczących populacji generalnej Polski. Masę ciała osób w wieku 0-14 lat zaczerpnięto z dokumentu *Waga osób w wieku 0-14 lat* opracowanego przez GUS [17]. Dane dla osób 15 lat i powyżej wyznaczono w oparciu o dane GUS [18, 19] dotyczące średniego wzrostu i poziomu BMI w poszczególnych kategoriach wiekowych oraz struktury wiekowej populacji osób w wieku 15 lat i więcej zgodnie z najbardziej aktualnymi danymi GUS dotyczącymi 2024 roku [26]. Średnia masa ciała wyznaczona została na podstawie rozkładu BMI przy uwzględnieniu jednostajnego rozkładu BMI w poszczególnych przedziałach BMI.

W tabeli poniżej zamieszczono średnia masę ciała uwzględnioną w obliczeniach oraz oszacowaną zalecaną dzienną podaż białka w zależności od wieku chorego na fenylketonurię.

Tabela 55.

Masa ciała chorych na PKU, zalecana dobową podaż białka względem wieku pacjenta

Wiek	Zalecana podaż białka / dobę	Średnia masa ciała chorych na PKU	Zalecana dobową podaż białka
3	2,2 g/kg m. c.	16,3 kg	35,0 g
4	2,2 g/kg m. c.	18,1 kg	38,9 g
5	1,9 g/kg m. c.	20,1 kg	37,2 g
6	1,9 g/kg m. c.	23,3 kg	43,1 g
7	1,9 g/kg m. c.	26,4 kg	48,8 g
8	1,9 g/kg m. c.	29,8 kg	55,1 g
9	1,9 g/kg m. c.	32,7 kg	60,5 g
10	1,9 g/kg m. c.	36,8 kg	68,1 g
11	1,3 g/kg m. c.	41,8 kg	54,3 g
12	1,3 g/kg m. c.	46,0 kg	59,8 g
13	1,3 g/kg m. c.	51,7 kg	67,2 g
14	1,3 g/kg m. c.	55,1 kg	71,6 g
15	1,3 g/kg m. c.	63,3 kg	82,3 g
16	1,2 g/kg m. c.	63,3 kg	72,8 g
17	1,2 g/kg m. c.	63,3 kg	72,8 g

Wiek	Zalecana podaż białka / dobę	Średnia masa ciała chorych na PKU	Zalecana dobową podaż białka
>=18	1,2 g/kg m. c.	75,1 kg	86,4 g

W celu określenia średniego dobowego spożycia gramów białka z preparatów białkozastępczych wśród chorych na PKU w wieku powyżej 3 r.ż. wyznaczono strukturę wieku tych pacjentów na dwa sposoby:

- w oparciu o dane NFZ o liczbie pacjentów z fenylketonurią: kompletnymi danymi obejmującymi wszystkich leczonych pacjentów z PKU w Polsce (Tabela 46, Tabela 47) dostępne są tylko dla roku 2018. Na podstawie tych danych można oszacować, że pacjentów w wieku od 3 do 17 lat jest 788, w wieku powyżej 18 lat jest 825. Dorośli pacjenci stanowią 51,15% populacji pacjentów powyżej 3. r.ż. Dodatkowo zakładając równomierny rozkład pacjentów ze względu na wiek w grupie 3-17, otrzymamy strukturę wieku w analizowanej populacji;
- w oparciu o dane GUS o liczbie ludności w Polsce w 2024 roku [26].

Wyniki oszacowań zaprezentowano w tabeli poniżej.

Tabela 56.
Rozkład chorych na PKU powyżej 3 r.ż. względem ich wieku

Wiek	Dane NFZ (2018)		Dane GUS (2024)	
	Liczba pacjentów	Struktura wieku	Liczba ludności	Struktura wieku
3	53	3,26%	334 933	0,91%
4	53	3,26%	350 901	0,96%
5	53	3,26%	376 235	1,03%
6	53	3,26%	394 546	1,08%
7	53	3,26%	413 447	1,13%
8	53	3,26%	397 373	1,08%
9	53	3,26%	388 864	1,06%
10	53	3,26%	391 768	1,07%
11	53	3,26%	384 808	1,05%
12	53	3,26%	404 112	1,10%
13	53	3,26%	403 700	1,10%
14	53	3,26%	427 402	1,17%
15	53	3,26%	431 473	1,18%
16	53	3,26%	425 435	1,16%
17	53	3,26%	396 544	1,08%
>=18	825	51,15%	30 744 126	83,85%
Suma	1 520	100,00%	36 665 667	100,00%

B.3.2. Rzeczywista dobową podaż białka

Dużym problemem dla pacjentów z PKU jest przestrzeganie zaleceń dietetycznych (compliance). Wśród problemów wpływających na brak przestrzegania diety wskazać można trudność w przygotowaniu specjalnych białkozastępczych produktów żywieniowych, jak również ich smak i walory sensoryczne. Problem nieprzestrzegania diety w PKU występuje pomimo obecności na rynku i refundacji szerokiego zakresu preparatów białkozastępczych.

W celu określenia rzeczywistej dawki białka stosowanej przez pacjentów z fenyloketonurią w wieku powyżej 3 r.ż. oszacowano sprzedaż preparatów białkozastępczych w tejże grupie wiekowej i porównano z liczbą pacjentów z PKU ≥ 3 r.ż., którym zrefundowano śsspż.

W związku z tym, że dane NFZ o liczbie pacjentów w wieku ≥ 3 r.ż., z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż dostępne są tylko za okres 2017-2018 (Tabela 46), dlatego dla zachowania spójności z danymi NFZ, w obliczeniach rzeczywistej dawki uwzględniono dane sprzedażowe za okres 2017-2018 [14]. Uwzględniono preparaty refundowane w latach 2017-2018, dla których zaraportowano sprzedaż w tym okresie, wykluczono preparaty refundowane zgodnie ze wskazaniami tylko w populacji niemowląt i dzieci do 3. roku życia. Dla preparatów, dla których zgodnie ze wskazaniami refundacyjnymi populację stanowią pacjenci powyżej 3 r.ż. przyjęto 100% udział sprzedaży gramów białka, a w przypadku preparatów, dla których populacja jest szersza, uwzględniono odsetki oszacowane w rozdziale B.2.1.

Podsumowanie obliczeń przedstawiono poniżej, zaś szczegółowe oszacowania znajdują się w pliku obliczeniowym analizy na arkuszu 'Pozostałe dane'.

Tabela 57.
Dobowa dawka białka wynikająca ze sprzedaży na podst. danych z lat 2017-2018

Parametr	2017	2018
Liczba sprzedanych gram białka w populacji pacjentów ≥ 3 r.ż.	24 535 885 g	26 079 642 g
Liczba pacjentów ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż	1 621	1 596
Dobowa dawka wynikająca ze sprzedaży	41,4 g	44,7 g
Średnia dobową dawka białka*	43,1 g	

* średnia ważona liczbą pacjentów

W ramach analizy weryfikacyjnej do zlecenia 44/2025 [5], analitycy Agencji wyznaczyli średnią dobową podaż białka z preparatów białkozastępczych na podstawie danych NFZ z 2024 r. dotyczących liczby zrefundowanych gramów białka u pacjentów ≥ 3 r.ż. i prognoz w zakresie liczby pacjentów ≥ 3 r.ż. W ramach niniejszej analizy przeprowadzono analogiczne obliczenia z wykorzystaniem danych za rok 2025, zgodnie z poniższą tabelą. Należy podkreślić, że właściwą wartością do uwzględnienia w obliczeniach jest wartość wyznaczona na podstawie rzeczywistych danych dotyczących liczby pacjentów oraz wielkości sprzedaży, a zatem wartość wyznaczona na podstawie danych z lat 2017-

2018. Dane za rok 2025 bazują na prognozie liczby pacjentów, a zatem związane są ze zwiększoną niepewnością i w konsekwencji zostały zaprezentowane jedynie w celach poglądowych.

Tabela 58.

Dobowa dawka białka wynikająca ze sprzedaży na podst. danych sprzedażowych NFZ oraz prognoz w zakresie liczby pacjentów dla roku 2025

Parametr	2025
Liczba sprzedanych gram białka w populacji pacjentów ≥ 3 r. ż.	31 021 029 g
Liczba pacjentów ≥ 3 r. ż. z rozpoznaniem ICD-10: E70.0, u których zrefundowano śsspż	1 941*
Dobowa dawka wynikająca ze sprzedaży	43,7 g

* Prognoza liczby pacjentów w wieku powyżej 3 r.ż. na podstawie danych NFZ i publikacji Szypowska 2020 (patrz Tabela 9)

Aneks C.

C.1. Preparaty białkozastępcze refundowane w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia

W analizie uwzględniono ceny refundowanych preparatów białkozastępczych na podstawie obowiązującego obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 17 marca 2026 [22]. W przypadku preparatów opartych na GMP, refundowanych w ramach grupy limitowej 216.25 rozważono sytuację, w której podstawę limitu wyznacza:

- PKU Sphere 20 o smaku waniliowym, zgodnie z obowiązującym obwieszczeniem,
- PKU GMPPro Delight, opakowanie 30 saszetek po 30 g produktu,
- PKU GMPPro Delight, opakowanie 30 saszetek po 40 g produktu.

C.1.1.1 GRUPA LIMITOWA 216.25 ZGODNIE Z OBOWIĄZUJĄCYM OBWIESZCZENIEM

Tabela 59.

Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU Sphere 20 o smaku waniliowym

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.25 Diety eliminacyjne w fenylketonurii - produkty z glikomakropeptydami (GMP) dla pacjentów powyżej 4 r.ż.										
PKU Sphere 15 o smaku waniliowym	Smakowe	27 g	5060385940112	450	1 480,50	1 569,33	1 618,57	1 614,11	7,66	ryczałt
PKU Sphere 15 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	27 g	5060385940105	450	1 480,50	1 569,33	1 618,57	1 614,11	7,66	ryczałt
PKU Sphere 20 o smaku waniliowym	Smakowe	35 g	5060014059857	600	1 974,00	2 092,44	2 152,14	2 152,14	3,20	ryczałt
PKU Sphere 20 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	35 g	5060014059840	600	1 974,00	2 092,44	2 152,14	2 152,14	3,20	ryczałt
PKU Sphere 20 o smaku bananowym	Smakowe	30 saszyetek po 35 g	5060385943489	600	1 974,00	2 092,44	2 152,14	2 152,14	3,20	ryczałt
PKU Sphere 20 o smaku cytrynowym	Smakowe	30 saszyetek po 35 g	5060385943472	600	1 974,00	2 092,44	2 152,14	2 152,14	3,20	ryczałt
PKU Sphere 15 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszyetek po 27 g	5060385941621	450	1 480,50	1 569,33	1 618,57	1 614,11	7,66	ryczałt
PKU Sphere 20 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszyetek po 35 g	5060385941454	600	1 974,00	2 092,44	2 152,14	2 152,14	3,20	ryczałt
PKU GMPPro Mix-In	Bezsmakowe	30 saszyetek po 12,5 g	5016533658293	300	966,00	1 023,96	1 062,73	1 062,73	3,20	ryczałt

C.1.1.2 GRUPA LIMITOWA 216.25 PRZY ZAŁOŻENIU, ŻE PODSTAWĘ LIMITU WYZNACZA OPAKOWANIE PKU GMPRO DELIGHT ZAWIERAJĄCE 30 SASZETEK PO 30 G PRODUKTU

Tabela 60.

Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 30 g produktu

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.25 Diety eliminacyjne w fenylketonurii - produkty z glikomakropeptydami (GMP) dla pacjentów powyżej 4 r.ż.										
PKU Sphere 15 o smaku waniliowym	Smakowe	27 g	5060385940112	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 15 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	27 g	5060385940105	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku waniliowym	Smakowe	35 g	5060014059857	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	35 g	5060014059840	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku bananowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385943489	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku cytrynowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385943472	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 15 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszetek po 27 g	5060385941621	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385941454	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU GMPPro Mix-In	Bezsmakowe	30 saszetek po 12,5 g	5016533658293	300	966,00	1 023,96	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■

C.1.1.3 GRUPA LIMITOWA 216.25 PRZY ZAŁOŻENIU, ŻE PODSTAWĘ LIMITU WYZNACZA OPAKOWANIE PKU GMPRO DELIGHT ZAWIERAJĄCE 30 SASZETEK PO 40 G PRODUKTU

Tabela 61.

Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty na bazie glikomakropeptydu (GMP) – podstawa limitu wyznaczona przez PKU GMPPro Delight, 30 saszetek po 40 g produktu

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.25 Diety eliminacyjne w fenylketonurii - produkty z glikomakropeptydami (GMP) dla pacjentów powyżej 4 r.ż.										
PKU Sphere 15 o smaku waniliowym	Smakowe	27 g	5060385940112	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 15 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	27 g	5060385940105	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku waniliowym	Smakowe	35 g	5060014059857	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku czerwonych owoców	Smakowe	35 g	5060014059840	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku bananowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385943489	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku cytrynowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385943472	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 15 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszetek po 27 g	5060385941621	450	1 480,50	1 569,33	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU Sphere 20 o smaku czekoladowym	Smakowe	30 saszetek po 35 g	5060385941454	600	1 974,00	2 092,44	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■
PKU GMPPro Mix-In	Bezsmakowe	30 saszetek po 12,5 g	5016533658293	300	966,00	1 023,96	■■■■■	■■■■■	■■■	■■■

C.1.1.4 POZOSTAŁE GRUPY LIMITOWE

Tabela 62.

Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty syntetyczne skondensowane

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.5, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, skondensowana - przeznaczona dla pacjentów powyżej 15 r.ż.										
milupa pku 3 advanta, proszek	Bezsmakowe	500 g	5016533644449	350	416,75	441,75	466,95	466,95	3,20	ryczałt
216.8, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii skondensowana - przeznaczona dla dzieci po ukończeniu 1 r.ż.										
milupa pku 2 prima, proszek	Bezsmakowe	500 g	5016533644425	300	351,33	372,41	395,70	395,70	3,20	ryczałt
216.11 Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, skondensowana - przeznaczona dla pacjentów powyżej 8 r.ż.										
milupa pku 2 secunda, proszek	Bezsmakowe	500 g	5016533644432	350	409,88	434,47	459,47	459,47	3,20	ryczałt
216.14 Diety eliminacyjne w fenyloketonurii skondensowane, porcjowane - przeznaczone dla pacjentów powyżej 8 r.ż.										
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej	Bezsmakowe	840 g (30 x 28 g)	5016533656763	600	943,95	1 000,59	1 038,45	1 038,45	3,20	ryczałt
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej	Smakowe	840 g (30 x 28 g)	5016533656749	600	943,95	1 000,59	1 038,45	1 038,45	3,20	ryczałt
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej	Smakowe	840 g (30 x 28 g)	5016533656725	600	943,95	1 000,59	1 038,45	1 038,45	3,20	ryczałt

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.19, Diety eliminacyjne w fenylketonurii, skondensowane, porcjowane, w płynie, przeznaczone dla pacjentów powyżej 4 r.ż., dorosłych, w tym kobiet w ciąży										
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny	Smakowe	60 x 62,5 ml (3750 ml)	5016533647785	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny	Smakowe	30 x 125 ml (3750 ml)	5016533647778	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny	Smakowe	60 x 62,5 ml (3750 ml)	5016533647754	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny	Smakowe	30 x 125 ml (3750 ml)	5016533647747	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny	Smakowe	60 x 62,5 ml (3750 ml)	5016533647723	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny	Smakowe	30 x 125 ml (3750 ml)	5016533647716	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny	Smakowe	60 x 62,5 ml (3750 ml)	5016533647693	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny	Smakowe	30 x 125 ml (3750 ml)	5016533647686	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex Select (herbata miętowa), płyn doustny	Smakowe	3750 ml (30 x 125 ml)	8716900591648	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
PKU Lophlex Select (herbata brzoskwiowa), płyn doustny	Smakowe	3750 ml (30 x 125 ml)	8716900591631	600	972,30	1030,64	1069,10	1069,10	3,20	ryczałt
216.20, Dieta eliminacyjna w fenylketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży										
PKU Cooler 20 Yellow, płyn	Smakowe	30 torebek po 174 ml	5060385943984	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Cooler 15 Yellow, płyn	Smakowe	30 torebek po 130 ml	5060385943977	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
PKU Cooler 10 Yellow, płyn	Smakowe	30 torebek po 87 ml	5060385943960	300	567,00	601,02	630,60	630,60	3,20	ryczałt
PKU Cooler 20 Orange, płyn	Smakowe	30 torebek po 174 ml	5060385943922	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Cooler 20 Purple, płyn	Smakowe	30 torebek po 174 ml	5060385943953	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Cooler 20 Red, płyn	Smakowe	30 torebek po 174 ml	5060385943861	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Cooler 20 White, płyn	Bezsmakowe	30 torebek po 174 ml	5060385943892	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Cooler 15 Orange, płyn	Smakowe	30 torebek po 130 ml	5060385943915	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Cooler 15 Purple, płyn	Smakowe	30 torebek po 130 ml	5060385943946	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Cooler 15 Red, płyn	Smakowe	30 torebek po 130 ml	5060385943854	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Cooler 15 White, płyn	Bezsmakowe	30 torebek po 130 ml	5060385943885	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Cooler 10 Orange, płyn	Smakowe	30 torebek po 87 ml	5060385943908	300	567,00	601,02	630,60	630,60	3,20	ryczałt
PKU Cooler 10 Purple, płyn	Smakowe	30 torebek po 87 ml	5060385943939	300	567,00	601,02	630,60	630,60	3,20	ryczałt
PKU Cooler 10 Red, płyn	Smakowe	30 torebek po 87 ml	5060385943847	300	567,00	601,02	630,60	630,60	3,20	ryczałt
PKU Cooler 10 White, płyn	Bezsmakowe	30 torebek po 87 ml	5060385943878	300	567,00	601,02	630,60	630,60	3,20	ryczałt

Nazwa produktu i postać	Bezzmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.21, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla pacjentów powyżej 3 r. ż., młodzieży, dorosłych w tym kobiet										
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 34 g	5060385942413	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 25 g	5060385942406	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek	Smakowe	30 saszetek po 34 g	5060385942390	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek	Smakowe	30 saszetek po 25 g	5060385942383	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 34 g	5060385942376	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 25 g	5060385942369	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek	Bezzmakowe	30 saszetek po 34 g	5060385942352	600	1 134,00	1 202,04	1 243,93	1 243,93	3,20	ryczałt
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek	Bezzmakowe	30 saszetek po 25 g	5060385942345	450	850,50	901,53	937,41	937,41	3,20	ryczałt
216.22, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci od 6 m-ca z. do 10 r.ż.										
PKU Gel o smaku pomarańczowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 24 g	5060014051462	300	525,00	556,50	584,85	584,85	3,20	ryczałt
PKU Gel o smaku malinowym, proszek	Smakowe	30 saszetek po 24 g	5060014051455	300	525,00	556,50	584,85	584,85	3,20	ryczałt
PKU Gel o smaku neutralnym, proszek	Bezzmakowe	30 saszetek po 24 g	5060014051448	300	525,00	556,50	584,85	584,85	3,20	ryczałt
216.24, Diety eliminacyjne w fenyloketonurii, skondensowane, porcjowane, w płynie, przeznaczone dla pacjentów powyżej 3 r.ż.										
Mevalia PKU Motion Red Fruits 10, płyn	Smakowe	30 saszetek po 70 ml	8008698021323	300	484,50	513,58	540,75	532,77	11,18	ryczałt

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
Mevalia PKU Motion Red Fruits 20, płyn	Smakowe	30 saszetek po 140 ml	8008698021309	600	969,00	1 027,14	1 065,53	1 065,53	3,20	ryczałt
Mevalia PKU Motion Tropical 10, płyn	Smakowe	30 saszetek po 70 ml	8008698021286	300	484,50	513,58	540,75	532,77	11,18	ryczałt
Mevalia PKU Motion Tropical 20, płyn	Smakowe	30 saszetek po 140 ml	8008698015476	600	969,00	1 027,14	1 065,53	1 065,53	3,20	ryczałt

Tabela 63.

Zestawienie środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego refundowanych w diecie eliminacyjnej w PKU u osób powyżej 3. roku życia (w ramach katalogu A) preparaty syntetyczne nieskondensowane

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.9, Diety eliminacyjne w fenylketonurii nieskondensowane, porcjowane - przeznaczone dla dzieci w wieku od 1 do 10 r.ż.										
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek	Smakowe	1080 g (30 sasz. po 36 g)	5016533648287	300	587,64	622,90	653,08	653,08	3,20	ryczałt
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek	Bezsmakowe	1080 g (30 sasz. po 36 g)	5016533648263	300	587,64	622,90	653,08	653,08	3,20	ryczałt
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek	Smakowe	1080 g (30 sasz. po 36 g)	5016533648249	300	587,64	622,90	653,08	653,08	3,20	ryczałt
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek	Smakowe	1080 g (30 sasz. po 36 g)	5016533648225	300	587,64	622,90	653,08	653,08	3,20	ryczałt
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek	Smakowe	1080 g (30 sasz. po 36 g)	5016533648201	300	587,64	622,90	653,08	653,08	3,20	ryczałt

Nazwa produktu i postać	Bezsmakowe/ Smakowe	Zawartość opakowania	Kod EAN	Liczba g białka w opakowaniu	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa	Cena detaliczna	Limit finansowania	Cena pacjenta	Rodzaj odpłatności
216.10, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii zawierająca wszystkie składniki odżywcze, z długolącuchowymi kwasami tłuszczowymi - przeznaczona dla dzieci po ukończeniu 1 r. ż.										
milupa pku 2 mix, proszek	Bezsmakowe	400 g	4008976340287	108	328,02	347,70	370,31	370,31	3,20	ryczałt
216.12, Diety eliminacyjne w fenyloketonurii z dodatkowymi składnikami energetycznymi (tłuszcze i węglowodany), porcjowane - przeznaczone dla pacjentów powyżej 8 r. ż.										
milupa pku 2 shake truskawkowy), proszek	Smakowe	500g (10 x 50g)	4008976599227	140	257,25	272,69	293,24	293,24	3,20	ryczałt
milupa pku 2 shake choco), proszek	Smakowe	500g (10 x 50g)	4008976599234	140	257,25	272,69	293,24	293,24	3,20	ryczałt
216.13, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - przeznaczona dla dzieci i dorosłych										
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu	Smakowe	454 g	0300875100066	99,88	123,45	130,85	146,84	146,84	3,20	ryczałt
216.15, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii z dodatkowymi składnikami energetycznymi (tłuszcze i węglowodany), porcjowana, w płynie - przeznaczona dla pacjentów powyżej 8 r.ż.										
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny	Smakowe	18 x 250 ml (4500 ml)	5016533625929	301,50	487,83	517,10	544,37	544,37	3,20	ryczałt
216.16, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii - przeznaczona dla dzieci i dorosłych, w tym dla kobiet w ciąży										
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu	Smakowe	454 g	0300875100127	181,6	181,77	192,68	211,03	211,03	3,20	ryczałt
216.17, Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii, porcjowana - przeznaczona dla pacjentów powyżej 8 r.ż., w tym dla kobiet w ciąży										
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej	Smakowe	1500 g (30 x 50 g)	5016533620368	585	878,38	931,08	967,55	967,55	3,20	ryczałt
216.18, Diety eliminacyjne w fenyloketonurii przeznaczone do stosowania u kobiet w okresie prekoncepcji, podczas ciąży oraz w okresie laktacji										
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego	Bezsmakowe	450 g (10 x 45 g)	4008976340294	140	380,10	402,91	427,04	427,04	3,20	ryczałt