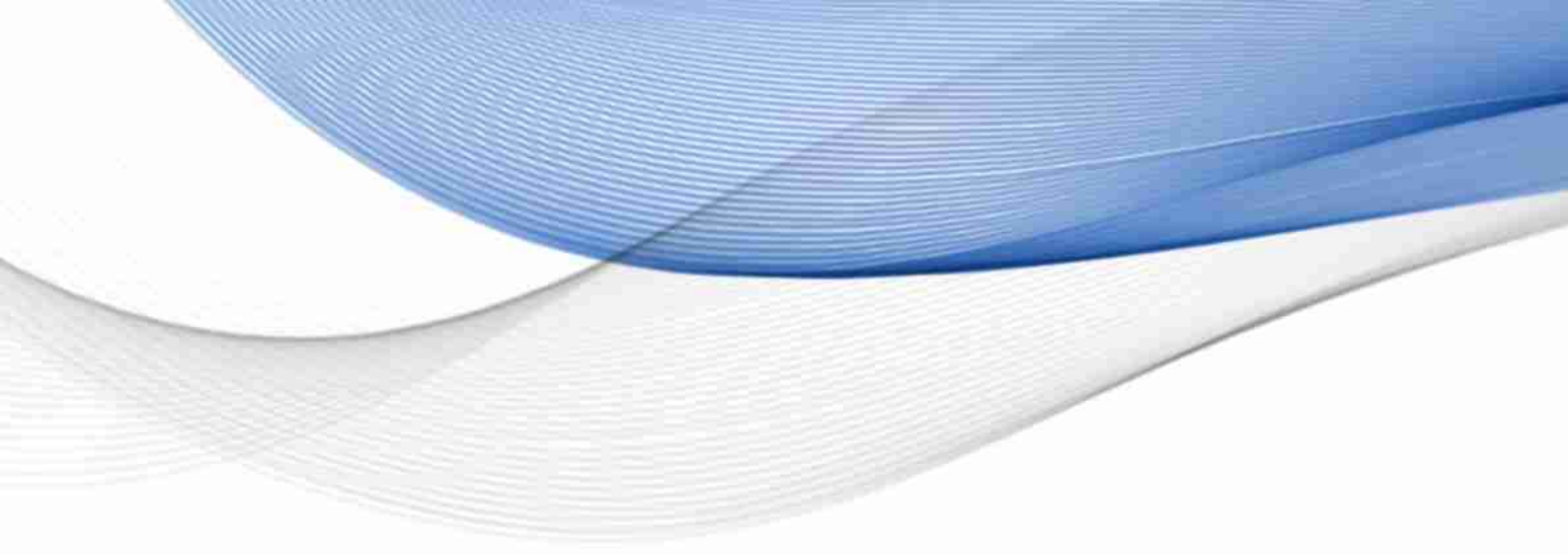




Winrevair® (sotatercept) w skojarzeniu z innymi terapiami stosowanymi w le- czeniu tętniczego nadciśnienia płuc- nego

Analiza wpływu na budżet

Warszawa, 2025

Autorzy**Dane kontaktowe**

HealthQuest spółka z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. K.
ul. Mickiewicza 63
01-625 Warszawa
tel/fax +48 22 468 05 34
kontakt@healthquest.pl
<http://www.healthquest.pl>

Konflikt interesów

Opracowanie zamówione i sfinansowane przez MSD Polska Sp. z o.o.

Spis treści

Wykaz skrótów i akronimów	4
Streszczenie	5
Wprowadzenie	7
1.1 Cel analizy.....	7
1.2 Perspektywa.....	7
1.3 Horyzont czasowy i dyskontowanie	8
1.4 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka	8
2 Metodyka analizy	10
2.1 Źródła danych.....	10
2.2 Populacja.....	10
2.2.1 Pacjenci, u których wnioskowana technologia może być stosowana.....	11
2.2.2 Populacja docelowa zgodna z wnioskiem	11
2.2.3 Liczebność populacji, u której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	12
2.2.4 Populacja docelowa uwzględniona w analizie wpływu na budżet	12
2.2.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji.....	13
2.3 Scenariusze porównywane	13
2.3.1 Scenariusz istniejący.....	18
2.3.2 Scenariusz nowy	20
2.4 Analizowane koszty	20
2.4.1 Koszty sotaterceptu.....	21
2.4.2 Koszty pozostałych leków (terapia podstawowa)	21
2.4.3 Koszt podania leków	24
2.4.4 Koszt podstawowej opieki	25
2.4.5 Koszty hospitalizacji i przeszczepienia płuca	28
2.4.6 Koszty opieki terminalnej	29
2.5 Zakres analizy wrażliwości.....	30
2.5.1 Wariant minimalny	30
2.5.2 Wariant maksymalny.....	31
2.5.3 Zestawienie parametrów analizy wrażliwości i wariantu podstawowego.....	32
2.6 Zestawienie danych wykorzystanych w niniejszej analizie.....	33
3 Wyniki analizy wpływu na budżet.....	37
3.1 Aktualne roczne wydatki NFZ.....	37
3.2 Wariant podstawowy.....	38
3.3 Wariant minimalny	40
3.4 Wariant maksymalny.....	41
3.5 Podsumowanie wyników analizy wpływu na budżet.....	43

4	Dyskusja wyników i ograniczeń.....	44
5	Wnioski końcowe	47
6	Aneks 1. Wyniki ankiety	48
	Spis tabel	56
	Bibliografia	58

Wykaz skrótów i akronimów

AE	analiza ekonomiczna
AOTMiT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
APD	analiza problemu decyzyjnego
BGT	terapia podstawowa (BGT, ang. <i>background therapy</i>)
BNP-PL	Ogólnopolska Baza Nadciśnienia Płucnego
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
FC	klasa czynnościowa (ang. <i>functional class</i>)
HTA	ocena technologii medycznych (ang. <i>health technology assessment</i>)
i.v.	podanie dożylne (łac. <i>in venam</i>)
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PAH, TNP	tętnicze nadciśnienie płucne (ang. <i>pulmonary artery hypertension</i>)
PCA	prostacykliny (ang. <i>prostacyclin analogue</i>)
PLN	polski nowy złoty
RSS	mechanizm dzielenia ryzyka (ang. <i>risk sharing scheme</i>)
s.c.	podanie podskórne (ang. <i>subcutaneous injection</i>)
WHO	Światowej Organizacji Zdrowia (ang. <i>World Health Organization</i>)

Streszczenie

Cel opracowania

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Winrevair® (substancja czynna sotatercept) stosowanego w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową finansowaniem w ramach istniejącego programu lekowego B.31 pt. „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” na wydatki płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w populacji dorosłych pacjentów z tętnicznym nadciśnieniem płucnym z klasą czynnościową II do III wg Światowej Organizacji Zdrowia, u których dotychczasowe leczenie schematem dwulekowym oraz trójkowym jest nieskuteczne lub źle tolerowane.

Metodyka

Analizę, zgodnie z obowiązującymi przepisami, wykonano z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) oraz z perspektywy wspólnej tego podmiotu i świadczeniobiorcy (pacjent). W przypadku niniejszej analizy dotyczącej finansowania w ramach programu lekowego (finansowanie przedmiotowego leku bez dopłaty pacjenta) perspektywy te są tożsame. Analizę przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego podyktowanego okresem obowiązywania decyzji o refundacji. W analizie uwzględniono koszty leków, koszty podania, koszty hospitalizacji, koszty podstawowej opieki oraz koszty opieki terminalnej.

Dobór uwzględnionych w analizie terapii i wielkość populacji oszacowano wykorzystując dane pochodzące z ogólnopolskiej bazy nadciśnienia płucnego (BNP-PL) oraz na danych dotyczących rzeczywistej praktyki klinicznej pochodzących z przeprowadzonego badania ankietowego. Populację docelową w analizie zdefiniowano jako grupę pacjentów, którzy w sytuacji finansowania sotaterceptu w leczeniu TNP byłoby leczeni tym lekiem (w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową), a obecnie (tj. przy braku finansowania sotaterceptem) leczeni są terapią podstawową (dwu- lub trzylekową). W scenariuszu istniejącym przyjęto brak refundacji sotaterceptu w analizowanym wskazaniu; w scenariuszu nowym założono objęcie refundacją preparatu Winrevair® w ramach istniejącego programu lekowego B.31. Porównując oba scenariusze rozpatrywano trzy warianty: podstawowy, minimalny i maksymalny, różniące się wielkością oszacowanej populacji docelowej.

Analizę przeprowadzono w dwóch wersjach cenowych: bez uwzględnienia mechanizmu dzielenia ryzyka (RSS, ang. *risk sharing scheme*) – uwzględniając wnioskowaną cenę zbytu netto sotaterceptu, oraz z uwzględnieniem RSS (redukującego koszty płatnika publicznego) – przyjmując cenę sotaterceptu na podstawie informacji Zamawiającego. W obu wersjach cenowych uwzględniono konserwatywnie jedynie efektywne ceny dla pozostałych leków na podstawie danych NFZ. Dane do wyznaczenia innych kosztów uwzględnionych w niniejszej analizie zaczerpnięto z zarządzeń Prezesa NFZ.

Wyniki

Całkowite koszty w przypadku scenariusza istniejącego (dla wersji z RSS odpowiadającej realiom ekonomicznym) z perspektywy NFZ w populacji uwzględnionej w niniejszej analizie wyniosły [REDACTED]. Szacunki te odnoszą się do populacji [REDACTED] pacjentów włączonych do leczenia wnioskowaną terapią zarówno w ciągu I, jak i w ciągu II roku analizy. W scenariuszu nowym, analogiczne koszty oszacowano [REDACTED]. Oznacza to, że objęcie produktów Winrevair® [REDACTED].

Koszty inkrementalne analizy wrażliwości (tj. rozważane warianty minimalny i maksymalny) dla wersji z RSS oszacowano na [REDACTED] w wariancie minimalnym oraz [REDACTED] w wariancie maksymalnym.

Podsumowanie i wnioski

Objęcie sotaterceptu w skojarzeniu z terapią podstawową refundacją we wnioskowanym wskazaniu zwiększa koszty z perspektywy NFZ. W decyzji o ewentualnej refundacji należy uwzględnić także dodatkowe korzyści zdrowotne, tj. wyniki analizy wpływu na budżet rozpatrywać w kontekście korzystnych wyników analizy klinicznej i kosztowej-efektywności. Jednocześnie jednak wyniki analizy jednoznacznie wskazują na wysoką korzyść kliniczną w postaci [REDACTED]. Odpowiednio dobrana terapia do określonego stanu klinicznego chorego przyczyni się do zwiększenia skuteczności jej leczenia, a tym samym do poprawy sytuacji chorych z tętnicznym nadciśnieniem płucnym.

Wprowadzenie

1.1 Cel analizy

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Winrevair® (substancja czynna sotatercept) stosowanego w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową finansowaniem w ramach istniejącego programu lekowego B.31 pt. „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” na wydatki płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) oraz wydatki wspólne – płatnika publicznego i pacjentów (czyli wpływu na budżet) w populacji dorosłych pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym (PAH, ang. *pulmonary arterial hypertension*) z klasą czynnościową (FC, ang. *functional class*) II do III wg Światowej Organizacji Zdrowia (WHO, ang. *World Health Organization*), u których dotychczasowe leczenie schematem dwulekowym oraz trójkowym jest nieskuteczne lub źle tolerowane.

W niniejszej analizie, analogicznie do analizy ekonomicznej, uwzględniono finansowanie następujących prezentacji leku:

- Winrevair®, 45 mg proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod GTIN 00191778024371,
- Winrevair®, 60 mg proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod GTIN 00191778024388,
- Winrevair®, 2 fiolki po 45 mg, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod GTIN 00191778024395,
- Winrevair® 2 fiolki po 60 mg, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań, kod GTIN 00191778024401.

Zawartość opakowania leku Winrevair zawierającego po 2 fiolki, tj. 2 fiolki po 45 mg i 2 fiolki po 60 mg, odpowiadają wielkościom opakowania 90 mg i 120 mg. W dalszej części raportu, prezentacje leku będą przedstawiane jako 45 mg, 60 mg, 90 mg i 120 mg.

1.2 Perspektywa

Analizę wpływu na budżet, zgodnie z obowiązującymi przepisami [Rozporządzenie MZ 2023] oraz wytycznymi AOTMiT [AOTMiT 2016], przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (NFZ) oraz z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorcy (NFZ i pacjent). W przypadku niniejszej analizy, dotyczącej finansowania wnioskowanej terapii w ramach programu lekowego, perspektywy te są tożsame, ponieważ nie dochodzi do współpłacenia ze strony świadczeniobiorcy. Z tego względu, zgodnie z wytycznymi AOTMiT, perspektywa wspólna nie została wyodrębniona, zaś wyniki uzyskane z perspektywy płatnika można traktować jako obowiązujące także dla perspektywy wspólnej.

1.3 Horyzont czasowy i dyskontowanie

Analizę, zgodnie z wytycznymi AOTMiT [AOTMiT 2016], przeprowadzono dla dwuletniego horyzontu czasowego, podyktowanego okresem obowiązywania pierwszej decyzji o refundacji. Nie przeprowadzono dyskontowania kosztów, ponieważ analiza wpływu na budżet ma na celu przedstawienie przepływu środków finansowych w czasie, a nie obliczenie ich bieżącej wartości.

1.4 Cena przedmiotowej technologii i mechanizm dzielenia ryzyka

Szczegółowy opis ceny przedmiotowej technologii oraz ceny uwzględniającej mechanizm dzielenia ryzyka zawarto w rozdziale 1.7 analizy ekonomicznej [AE Sotatercept 2025]. Poniżej przedstawiono najważniejsze tabelaryczne zestawienie cen rozważanego leku dla wersji bez mechanizmu dzielenia ryzyka (RSS, ang. *risk sharing scheme*, por. Tab. 1) oraz z RSS (por. Tab. 2).

Tab. 1. Ceny rozważanego leku w wersji bez RSS

Zawartość opakowania	[1] CZN, PLN	[2] UCZ, PLN	[3] CHB, PLN	[4] WLF, PLN
Winrevair®, 45 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań				
Winrevair®, 60 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań				
Winrevair®, 90 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań				
Winrevair®, 120 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań				

Na szaro zaznaczono podstawę limitu w grupie.

Objaśnienia wyliczeń:

[2] = [1] + VAT (VAT = 8% * [1]),

[3] = jeżeli marża hurtowa = 6% * [1] ≤ 2000 wtedy: [2] + marża hurtowa (marża hurtowa = 6% * [2]); jeżeli marża hurtowa = 6% * [1] > 2000 wtedy: ([1] + 2000) * 1,08,

[4] – na podstawie podstawy limitu w grupie.

CHB – cena hurtowa brutto; CZN – cena zbytu netto; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka, UCZ – urzędowa cena zbytu; WLF – wysokość limitu finansowania.

Tab. 2. Ceny rozważanego leku w wersji uwzględniającej RSS

Zawartość opakowania	Koszt z RSS (CHB), PLN
Winrevair®, 45 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	
Winrevair®, 60 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	
Winrevair®, 90 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	

Winrevair®, 120 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań	
---	--



CHB – cena hurtowa brutto; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm dzielenia ryzyka.

2 Metodyka analizy

2.1 Źródła danych

Wielkość badanej populacji oraz aktualne udziały w rynku uwzględnianych schematów leczenia oszacowano na podstawie danych z ogólnopolskiej bazy nadciśnienia płucnego (BNP-PL) oraz wyników badania ankietowego, omówionego w niniejszym dokumencie.

Parametry kliniczne będące danymi wejściowymi zastosowanego modelu zaczerpnięto z badania RCT STELLAR [Hoeper 2023] oraz publikacji Kopeć 2020.

Koszty pojedynczych opakowań leków zarówno dla wersji bez RSS, jak i z RSS ustalono na podstawie danych NFZ o wartości refundacji w 2024 r. [Raport refundacyjny 2025]. Zdecydowano uwzględnić jedynie koszt rzeczywisty dla płatnika, jako wersję konserwatywną, szczególnie w wariantcie bez RSS, jednocześnie odstępując z wykorzystania kosztów publikowanych w Obwieszczeniu Ministra Zdrowia o refundacji.

Dane do wyznaczenia innych kosztów, uwzględnionych w niniejszej analizie, zaczerpnięto z zarządzenia Prezesa NFZ z dnia 29 marca 2024 r. oraz z dnia 17 grudnia 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne [37/2024/DSOZ, 120/2024/DSOZ], z zarządzenia Prezesa NFZ z dnia 24 kwietnia 2024 r. zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego [29/2025/DGL], z zarządzenia Prezesa NFZ z dnia 3 lutego 2025 r. zmieniającego zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie [10/2025/DSOZ], zarządzenia Prezesa NFZ z dnia 29 maja 2024 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hospicyjna [54/2024/DSOZ] oraz korzystano z współczynnika korygującego dotyczącego hospitalizacji na podstawie Zarządzenia 100/2024 ZLC, jak również z informatora świadczeń JGP i informatora o umowach NFZ.

2.2 Populacja

Zgodnie z Rozporządzeniem MZ z dnia 24 października 2023 r. 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 [Rozporządzenie MZ 2023], oprócz oszacowania wpływu finansowania analizowanej technologii na wydatki płatnika i pacjenta, należy oszacować liczbę:

- wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być stosowana,
- populacji pacjentów, wskazanej we wniosku,
- pacjentów, u których technologia jest obecnie stosowana.

Poniżej przedstawiono odpowiednie obliczenia.

2.2.1 Pacjenci, u których wnioskowana technologia może być stosowana

Zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) [ChPL Winrevair], produkt leczniczy Winrevair® (sotatercept) zarejestrowany jest do stosowania w skojarzeniu z innymi terapiami stosowanymi w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego (ang. *pulmonary arterial hypertension*, PAH) w leczeniu PAH u dorosłych pacjentów z klasą czynnościową (ang. *Functional Class*, FC) II do III wg WHO w celu poprawy wydolności wysiłkowej.

W celu najbardziej wiarygodnego określenia liczebności populacji, odpowiadającej rzeczywistej praktyce klinicznej, przeprowadzono badanie ankietowe wśród ekspertów klinicznych w obszarze leczenia TNP, omówione w aneksie niniejszej analizy (por. rozdz. 6).

W pierwszym kroku oszacowania liczebności populacji wykorzystano dane pochodzące z ogólnopolskiej bazy nadciśnienia płucnego (BNP-PL). Są to dane rzeczywiste z ośrodków z całej Polski, więc dobrze odpowiadają rzeczywistej praktyce klinicznej i funkcjonowaniu programu lekowego. Zgodnie z danymi z bazy BNP-PL liczba pacjentów z TNP stosujących terapię dwulekową lub trzylekową na dzień 31.08.2023 r. to odpowiednio 488 i 288 osób [Waligóra 2023]. Następnie na podstawie wyników przeprowadzonego badania ankietowego określono odsetek pacjentów w klasie II lub III wg WHO. [REDACTED]

[REDACTED] (por. Tab. 3).

Tym samym wielkość populacji, w której wnioskowana technologia może być stosowana określono na [REDACTED] (por. Tab. 3).

2.2.2 Populacja docelowa zgodna z wnioskiem

Wniosek obejmuje dorosłe osoby z tętnicznym nadciśnieniem płucnym z klasą czynnościową II lub III według WHO-FC, po nieskutecznym lub źle tolerowanym leczeniu jednym ze schematów lekowych przewidzianych do stosowania w terapii skojarzonej dwu- lub trzylekowej.

W celu najbardziej wiarygodnego określenia liczebności populacji ponownie wykorzystano dane pochodzące z ogólnopolskiej bazy nadciśnienia płucnego (BNP-PL) oraz przeprowadzonego badania ankietowego. [REDACTED]

[REDACTED] otrzymano liczbę pacjentów z PAH w II i III klasie WHO FC, po nieskutecznym lub źle tolerowanym leczeniu jednym ze schematów lekowych przewidzianych do stosowania w terapii skojarzonej dwu- lub trzylekowej (por. Tab. 3).

Zgodnie z wynikami badania ankietowego liczba osób w II i III klasie WHO FC z niepowodzeniem/nietolerancją leczenia terapią dwu- lub trzylekową to [REDACTED] (por. Tab. 3).

2.2.3 Liczebność populacji, u której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Wnioskowana technologia we wnioskowanym wskazaniu nie jest obecnie stosowana w Polsce (liczebność populacji = 0 pacjentów).

2.2.4 Populacja docelowa uwzględniona w analizie wpływu na budżet

Analizę oparto na założeniu, że objęcie sotaterceptu finansowaniem w ramach istniejącego programu lekowego nie wpłynie na zmianę liczby pacjentów włączanych do leczenia TNP, tj. że dostępność nowej opcji terapeutycznej nie wpłynie na częstość rozpoznawania choroby i włączania do leczenia (tym bardziej – na częstość występowania samej choroby). Obecnie dostępnych jest kilkanaście schematów leczenia TNP (por. APD Sotatercept 2025), więc założenie, że liczba leczonych osób ogółem nie zależy od dostępności kolejnego preparatu, wydaje się uzasadnione.

Populację docelową na potrzeby niniejszej analizy zdefiniowano jako pacjentów, którzy w sytuacji finansowania sotaterceptu w leczeniu TNP będą leczeni tym lekiem (w ramach terapii dwu- lub trzylekowej).

Wielkość populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie oszacowano na podstawie wyników, przeprowadzonego wśród ekspertów klinicznych leczenia TNP, badania ankietowego odzwierciedlającego warunki rzeczywistej praktyki klinicznej. [REDACTED]

[REDACTED] (por. Tab. 3). Sumując wyniki dla wszystkich stosowanych obecnie terapii oszacowano, że w przypadku pozytywnej decyzji o finansowaniu sotaterceptu byłby stosowany u [REDACTED].

Tab. 3. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) – dane z ankiet

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
Terapia dwulekowa				
SIL+MAC	197	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SIL+BOS	152	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SIL+TRE	42	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
SIL+ILO	29	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
RIO+BOS	27	■	■	■
BOS+ILO	10	■	■	■
SIL+SEL	8	■	■	■
SIL+EPO	6	■	■	■
BOS+EPO	3	■	■	■
BOS+TRE	0	■	■	■
Inne	14	■	■	■
Łącznie	488	■	■	■
Terapia trzylekowa				
SIL+MAC+SEL	78	■	■	■
SIL+BOS+TRE	66	■	■	■
SIL+BOS+SEL	39	■	■	■
SIL+BOS+ILO	33	■	■	■
SIL+MAC+EPO	32	■	■	■
SIL+BOS+EPO	16	■	■	■
SIL+MAC+TRE	15	■	■	■
SIL+MAC+ILO	6	■	■	■
Inne	3	■	■	■
Łącznie	288	■	■	■

b.d. – brak danych; BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; FC – klasa czynnościowa (ang. *functional class*); ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO – riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – Treprostinil; WHO – Światowa Organizacja Zdrowia (ang. *World Health Organization*).

2.2.5 Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji

Podsumowanie szacunków rocznej liczebności populacji przedstawione w rozdziałach 2.2.2-2.2.4 zestawiono w Tab. 4.

Tab. 4. Podsumowanie szacunków rocznej wielkości populacji

Populacja	Wielkość populacji	Odnosnik do rozdziału
Pacjenci ze wskazaniem określonym we wniosku	■	rozdział 2.2.2
Pacjenci, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	■	rozdział 2.2.3
Populacja docelowa uwzględniona w niniejszej analizie	■	rozdział 2.2.4

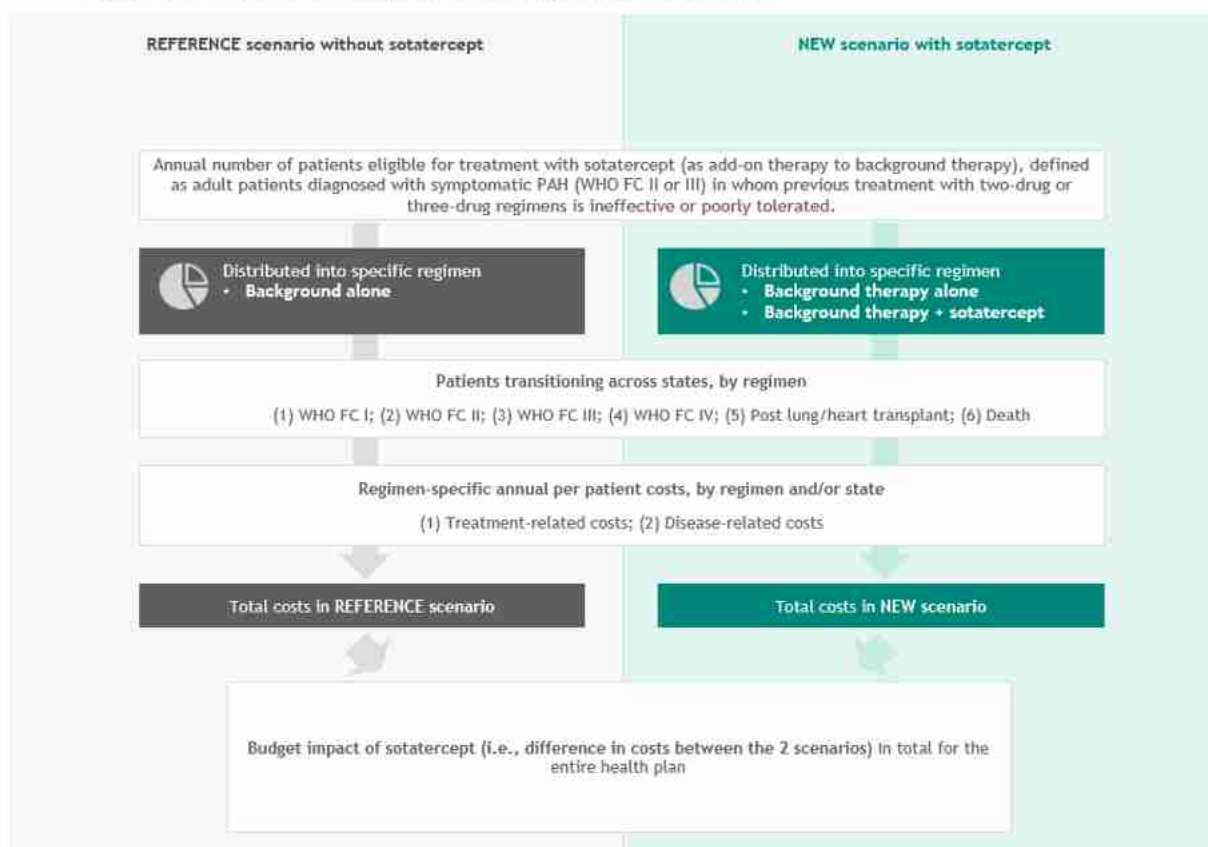
2.3 Scenariusze porównywane

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z wykorzystaniem dostępnego zagranicznego modelu dotyczącego bezpośrednio rozważanego problemu decyzyjnego. Model stworzono na

zlecenie Podmiotu Odpowiedzialnego i dostarczono przez Wnioskodawcę. Model, zaimplementowany w programie Microsoft Office Excel 2016, dostosowano do warunków polskich poprzez wprowadzenie polskich danych na temat struktury stosowanych leków, struktury klas WHO FC, zużycia zasobów oraz kosztów jednostkowych. W adaptacji modelu uwzględniono specyficzny dla Polski sposób naliczania kosztów podania leków. W kalkulatorze dodatkowo uwzględniono koszty rutynowej opieki, w zakres której wchodziły: koszty diagnostyki, innych wizyt ambulatoryjnych i tlenoterapii.

W ramach analizy przedstawiono dwa scenariusze: scenariusz przedstawiający aktualną sytuację (brak finansowania przedmiotowego leku) – scenariusz istniejący, oraz scenariusz przewidywany po wprowadzeniu finansowania nowej technologii – scenariusz nowy. Oba scenariusze przeprowadzono dla dwóch wersji cenowych analizowanych terapii: nieuwzględniającej oraz uwzględniającej mechanizm dzielenia ryzyka. Opis poszczególnych scenariuszy przedstawiono poniżej.

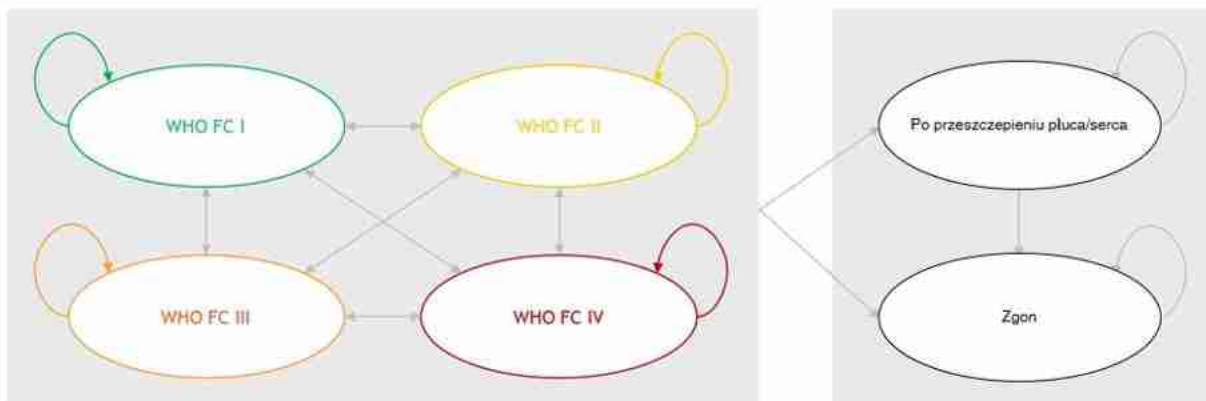
Rys. 1. Schemat modelu analizy wpływu na budżet



Źródło: Oryginalny Raport Techniczny

W obu scenariuszach pacjenci nowo włączani do modelu w każdym roku przechodziliby przez 6 wzajemnie wykluczających się stanów zdrowia: WHO FC I, WHO FC II, WHO FC III, WHO FC IV, stan po przeszczepieniu płuc/serca i zgon (por. Rys. 2, Tab. 5).

Rys. 2. Możliwe zmiany stanów zdrowia pacjentów w modelu



Źródło: Oryginalny Raport Techniczny

Tab. 5. Opis poszczególnych stanów zdrowia występujących w modelu

Stan zdrowia	Opis
WHO FC I	Pacjenci z diagnozą PAH, bez ograniczeń w aktywności.
WHO FC II	Pacjenci z diagnozą PAH, z niewielkimi ograniczeniami w aktywności. Zwyczajna fizyczna aktywność sprawia duszności, zmęczenie, ból w klatce piersiowej lub stany bliskie omdleniu. Komfort w spoczynku.
WHO FC III	Pacjenci z diagnozą PAH, ze znacznymi ograniczeniami w aktywności. Mniej niż zwyczajna aktywność fizyczna powoduje duszności, zmęczenie, pólę w klatce piersiowej lub omdlenia. Komfort w spoczynku.
WHO FC IV	Pacjenci z diagnozą PAH, bez możliwości jakiegokolwiek aktywności fizycznej bez objawów. W spoczynku mogą się pojawiać duszności lub zmęczenie.
Po przeszczepieniu płuca/serca	Pacjenci z PAH po przeszczepieniu płuca/serca.
Zgon	Zgon.

* Klasyfikacja czynnościowa PH według Światowej Organizacji Zdrowia z 1998 roku, zmodyfikowana na podstawie klasyfikacji czynnościowej NYHA [ESC/ERS 2022].

WHO FC – powszechnie używane narzędzie do oceny prawdopodobieństwa przeżycia u pacjentów z PAH; FC – klasa czynnościowa; PAH – tętnicze nadciśnienie płucne; WHO – Światowa Organizacja Zdrowia.

Założono, że pacjenci będą wchodzić do modelu kwartalnie, a całkowita liczba pacjentów wchodzących do modelu każdego roku została podzielona równo na kwartały. Całkowita liczba pacjentów wchodzących do modelu każdego roku została przedstawiona Tab. 3.

Do sparametryzowania prawdopodobieństw przejść pomiędzy klasami WHO FC wykorzystano dane z badania STELLAR. W każdym roku pacjenci mogli doświadczyć poprawy, stabilizacji lub pogorszenia klinicznego stanu zdrowia. Poprawa kliniczna była zdefiniowana jako zmiana klasy WHO FC na niższą, tj. o mniejszym nasileniu objawów choroby (tj. z FC IV na FC III, z FC III na FC II, z FC II na FC I). Stabilizacja kliniczna była określona jako pozostanie w tej samej klasie WHO FC, natomiast pogorszenie kliniczne było reprezentowane przez zmianę klasy WHO FC na wyższą (tj. z FC I na FC II, z FC II na FC III, z FC III na FC IV) bądź przejściem do stanu „po przeszczepieniu płuca/serca” lub „zgon”.

Zgodnie z randomizowanym okresem badania STELLAR (od punktu początkowego badania do 24. tygodnia) i harmonogramami wizyt, 3-miesięczne prawdopodobieństwo przejścia między klasami FC z badania STELLAR zostało wykorzystane do modelowania przejść pacjentów między stanami modelu co kwartał, w ramach scenariusza istniejącego (placebo + terapia podstawowa) oraz scenariusza nowego (sotatercept + terapia podstawowa). Prawdopodobieństwo przejść między klasami WHO FC zostało dodatkowo dostosowane do prawdopodobieństwa przejścia do stanu „po przeszczepieniu płuca/serca” i „zgonu” z literatury (por. Tab. 7). Prawdopodobieństwo zgonu zależało od statusu FC i stosowanego leczenia, podczas gdy prawdopodobieństwo przeszczepu zależało od statusu FC. Na przykład pacjenci z gorszym (tj. wyższym) statusem FC lub otrzymujący wyłącznie terapię podstawową mieliby wyższe prawdopodobieństwo zgonu w porównaniu z pacjentami z lepszym (tj. niższym) statusem FC lub pacjentami otrzymującymi sotatercept + terapię podstawową.

Dodatkowo istnieje możliwość zastosowania względnego ryzyka dla sotaterceptu + terapii podstawowej w porównaniu z placebo + terapią podstawową w celu oszacowania prawdopodobieństwa przejścia u pacjentów leczonych skojarzeniem sotaterceptu + terapii podstawowej zamiast stosowania obserwowanych prawdopodobieństw przejścia z badania STELLAR (por. Tab. 6).

Aby uniknąć przeszacowania lub niedoszacowania zdarzeń klinicznych w ramach analizy wpływu na budżet, w której raportujemy roczne wyniki, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

Po oszacowaniu liczby pacjentów w każdym stanie w każdym roku analizy, liczbę hospitalizacji z powodu PAH oszacowano, stosując prawdopodobieństwo hospitalizacji z powodu PAH zależne od klasy WHO FC i stosowanego leczenia, skorygowane o czas trwania kohorty pacjentów w modelu w danym roku analizy. Pacjenci z wyższą klasą FC lub otrzymujący wyłącznie terapię podstawową byli bardziej narażeni na hospitalizację z powodu PAH w porównaniu z pacjentami z niższą klasą FC lub stosującymi sotatercept + terapię podstawową.

Tab. 6. Względne ryzyko poprawy i pogorszenia klasy WHO FC

Względne ryzyko w odniesieniu do terapii podstawowej	Poprawa FC	Pogorszenie FC	Źródło
Sotatercept + terapia podstawowa	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	STELLAR

FC – klasa czynnościowa; WHO – Światowa Organizacja Zdrowia.

Tab. 7. Dane kliniczne – początkowa dystrybucja pacjentów i prawdopodobieństwo przejść pomiędzy poszczególnymi stanami modelu

Parametr		Sotatercept + terapia podstawowa	Placebo + terapia podstawowa	Źródło
Początkowy rozkład pacjentów w zależności od klasy WHO FC				
WHO FC I		0,0%		Kopeć 2020
WHO FC II		51,5%		
WHO FC III		48,5%		
WHO FC IV		0,0%		
3-miesięczne prawdopodobieństwo przejścia między stanami modelu				
Przejście z WHO FC I* do:	WHO FC I			STELLAR
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z WHO FC II do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z WHO FC III do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z WHO FC IV* do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z przeszczepienie płuca/serca do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			

Parametr		Sotatercept + terapia podstawowa	Placebo + terapia podstawowa	Źródło
	Po przeszczepieniu płuca/serca	████	████	
	Zgon	████	████	
Roczne prawdopodobieństwo hospitalizacji z powodu nadciśnienia płucnego				
WHO FC I		████████████████████	████	COMPERA
WHO FC II			████	
WHO FC III			████	
WHO FC IV			████	
Po przeszczepieniu płuca/serca		8,0%	8,0%	Założenie***

*Ze względu na niewielką liczbę pacjentów w grupach FC I i FC IV, jednakowe, zebrane dane łączne dla obu ramion były wykorzystane do parametryzacji obu ramion: sotatercept + BGT oraz BGT, zakładając brak różnic w prawdopodobieństwach przejść z grup FC I i FC IV pomiędzy ramionami terapii.

***Przyjęto, że dane wejściowe dla stanu „po przeszczepieniu płuca/serca” są takie same jak w stanie WHO FC I ze względu na brak danych dotyczących przeszczepu w badaniu STELLAR i literaturze w ogóle, co wynikało głównie z rzadkiego charakteru przeszczepu u pacjentów z PAH.
FC – klasa czynnościowa; WHO – World Health Organization.

Biorąc pod uwagę stosunkowo krótki horyzont czasowy niniejszej analizy wpływu na budżet (w porównaniu z analizą ekonomiczną przeprowadzoną w dożywotnim horyzoncie czasowym), założono, że prawdopodobieństwo przejść i prawdopodobieństwo zdarzeń pozostaną stałe w czasie.

2.3.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący odpowiada ilościowej prognozie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda pozytywnej decyzji o objęciu finansowaniem sotaterceptu w ramach istniejącego programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)”.

Na podstawie danych z przeprowadzonego badania ankietowego, określono, które schematy terapeutyczne spośród obecnie stosowanych zostaną uzupełnione sotaterceptem (tj. sotatercept będzie stosowany z terapią podstawową (dwu- lub trzylekową)) (por. Tab. 3). Liczbę pacjentów leczonych konkretnym lekiem oszacowano stosując stopień/współczynnik wykorzystania każdego pojedynczego leku do szacowanej liczebności populacji docelowej w każdym roku analizy.

W scenariuszu istniejącym wszyscy pacjenci z populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie są leczeni więcej niż jednym lekiem stosowanym w ramach terapii podstawowej (dwu- lub trzylekowej).

Strukturę pacjentów otrzymujących dany lek w ramach terapii podstawowej oszacowano na podstawie wyników z przeprowadzonego badania ankietowego w sposób opisany poniżej.

Dane wejściowe modelu zbierano osobno dla terapii dwulekowej i trzylekowej. Strukturę pacjentów otrzymujących dany lek (w ramach terapii podstawowej: dwu- lub trzylekowej) w populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie obliczono jako średnią ważoną struktury dla terapii dwulekowej i trzylekowej oraz liczby pacjentów stosujących analizowane terapie podstawowe (por. Tab. 9).

Założono, że u części pacjentów po włączeniu do modelu nastąpi intensyfikacja lub deintensyfikacja leczenia (intensyfikacja polegała na włączeniu nowego leku, natomiast deintensyfikacja na wstrzymaniu stosowania niektórych leków), w zależności od ich klasy WHO FC w danym roku. Tym samym założono, że na poziomie populacji prawdopodobieństwo intensyfikacji leczenia będzie większe u pacjentów z wyższym stopniem WHO FC (większe nasilenie objawów choroby), podczas gdy u pacjentów z niższym statusem WHO FC prawdopodobieństwo wystąpienia deintensyfikacji będzie większe. Ponadto założono, że sotatercept będzie miał zarówno bezpośredni, jak i pośredni wpływ na leczenie, ograniczając intensyfikację stosowania dożylnych prostacyklin (PCA, ang. *prostacyclin analogue*). W szczególności jakakolwiek przewidywana długoterminowa różnica w stosowaniu dożylnych PCA pomiędzy ramionami leczenia będzie wynikać (1) pośrednio z jakiegokolwiek różnicy w szacowanej proporcji pacjentów przebywających w każdym stanie zdrowia WHO FC oraz (2) bezpośrednio z obserwowanego efektu leczenia w badaniu STELLAR.

W Tab. 8 przedstawiono strukturę pacjentów otrzymujących dany lek w ramach terapii podstawowej z rozbiem na terapię dwu- i trzylekową. Natomiast w Tab. 9 przedstawiono strukturę pacjentów otrzymujących dany lek w ramach terapii podstawowej dla populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie oraz względną zmianę terapii w zależności od stopnia zaawansowania klasy WHO FC.

Tab. 8. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej z rozbiem na terapię dwu- i trzylekową

Rodzaj terapii	Struktura pacjentów w ramach terapii podstawowej, %	
	Terapia dwulekowa	Terapia trzylekowa
Bosentan	████	████
Macitentan	████	████
Sildenafil	████	████
Riociguat	████	████
Epoprostenol	████	████
Treprostinil i.v.	████	████
Treprostinil s.c.	████	████
Iloprost	████	████
Seleksypag	████	████
Źródło	Obliczenia na podstawie ankiety ekspertów	

i.v. – podanie dożylne (łac. *in venam*); s.c. – podanie podskórne (ang. *subcutaneous injection*).

Tab. 9. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej wśród pacjentów z populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie

Rodzaj terapii	Struktura pacjentów w ramach terapii podstawowej, %	Zmiana w odniesieniu do struktury podstawowej po roku od wejścia do modelu			
		WHO FC I	WHO FC II	WHO FC III	WHO FC IV
Bosentan	■	0,0%	0,0%	0,0%	26,0%
Macitentan	■	0,0%	0,0%	0,0%	26,0%
Sildenafil	■	0,0%	0,0%	0,0%	-22,4%
Riociguat	■	0,0%	0,0%	0,0%	40,7%
Epoprostenol	■	-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil i.v.	■	-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil s.c.	■	-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Iloprost	■	-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Seleksypag	■	-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Źródło	Obliczenia na podstawie ankiety ekspertów	Obliczenia na podstawie Pizzicato 2022			

FC – klasa czynnościowa (ang. *functional class*); i.v. – podanie dożylne (łac. *in venam*); s.c. – podanie podskórne (ang. *subcutaneous injection*); WHO – Światowa Organizacja Zdrowia (ang. *World Health Organization*).

2.3.2 Scenariusz nowy

W scenariuszu nowym założono, że wydana zostanie pozytywna decyzja o refundacji wszystkich prezentacji preparatu Winrevair® w ramach istniejącego programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” stosowanego w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową.

Analogicznie do założeń scenariusza istniejącego przyjęto strukturę pacjentów otrzymujących dany lek w ramach terapii podstawowej oraz względną zmianę terapii w zależności od stopnia zaawansowania klasy WHO FC zgodnie z danymi przedstawionymi w Tab. 8.

W scenariuszu nowym niniejszej analizy przyjęto, że wszyscy pacjenci rozpoczną leczenie sotaterceptem (jako terapią skojarzoną z terapią podstawową) w ciągu kolejnych ośmiu kwartałów. Powyższe założenie jest zgodne ze sposobem definicji populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie. Przyjęto założenie, że dołączenie sotaterceptu do terapii podstawowej nie wpływa na zmianę terapii.

2.4 Analizowane koszty

W celu pokazania całkowitych kosztów leczenia pacjentów z tętniczym nadciśnieniem płucnym, otrzymujących terapie dwu- lub trzylekowe, z perspektywy płatnika publicznego w niniejszej analizie oprócz kosztów wnioskowanego leku oraz kosztów leków w ramach terapii

podstawowej uwzględniono koszty podania leków w ramach programu lekowego, koszty hospitalizacji, koszty podstawowej opieki (w ramach której uwzględniano koszty wizyt kontrolnych, diagnostyki i monitorowania, wizyt ambulatoryjnych oraz tlenoterapii – koszty ponoszone w ramach programu lekowego oraz dodatkowe, nieuwzględnione w programie lekowym) oraz koszty opieki terminalnej.

2.4.1 Koszty sotaterceptu

Koszty sotaterceptu zostały przedstawione w rozdziale 1.4.

2.4.2 Koszty pozostałych leków (terapia podstawowa)

W ramach terapii podstawowej (BGT, ang. *background therapy*) uwzględniono wszystkie leki objęte programem lekowym B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” stosowane w populacji osób dorosłych w II rzucie leczenia PAH. Koszty leków wyznaczono tylko z perspektywy płatnika publicznego, gdyż w związku z refundacją w ramach programu lekowego, są one dostępne dla pacjentów bezpłatnie. Zdecydowano uwzględnić jedynie koszt rzeczywisty dla płatnika, jako wersję konserwatywną, szczególnie w wariancie bez RSS, jednocześnie odstępując z wykorzystania kosztów publikowanych w Obwieszczeniu o refundacji.

Dla bosentanu, sildenafilu oraz treprostinilu średnią cenę za 1 mg przyjęto na podstawie komunikatu DGL dotyczącego średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii [Komunikat DGL]. W przypadku pozostałych leków, jednostkowy koszt wyznaczono w oparciu o sumy kwot refundacji [Raport refundacyjny 2025] i liczbę rozliczonych jednostek w 2024 roku [Uchwała Rady NFZ]. Dokładne oszacowanie kosztów przedstawiono w rozdziale 6 analizy ekonomicznej [AE Sotatercept 2025]. Wykorzystanie wyżej wymienionych źródeł do oszacowania średnich cen substancji za 1 mg pozwoliło uwzględnić w analizie istniejące instrumenty dzielenia ryzyka. W Tab. 10 zebrano wyznaczone średnie ceny leków.

Tab. 10. Średnia cena za 1 mg leków uwzględnionych w ramach terapii podstawowej

Nazwa substancji	Średnia cena za 1 mg, perspektywa płatnika publicznego, PLN	Źródło
Bosentan	0,07	Komunikat DGL
Macitentan	19,23	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
Sildenafil	0,02	Komunikat DGL
Riociguat	37,42	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
Epoprostenol	174,26	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
Treprostinil	172,21	Komunikat DGL
Iloprost	3 011,99	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
Seleksypag	218,52	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ

Koszt leku był składową ceny za 1 mg leku, średniej przyjmowanej dawki oraz częstości podania. Dane dotyczące dawkowania leków wykorzystanych w terapii podstawowej przyjęto

na podstawie danych zawartych w poszczególnych dokumentach ChPL oraz odnalezionych Wytycznych. Informacje na ten temat przedstawiono w Tab. 11.

Tab. 11. Dane dotyczące dawkowania poszczególnych leków uwzględnione w analizie

Nazwa substancji	Dawka*	Źródło	Liczba mg w podaniu	Liczba dawek w opakowaniu	Koszt za podanie, PLN
Bosentan	125 mg 2 razy dziennie	ChPL Trecleer ESC/ERS 2022	5,0 mg	56	494,54
Macitentan	12 mg 1 raz dziennie	ChPL Opsumit ESC/ERS 2022	10,0 mg	30	5 768,19
Sildenafil	20 mg 3 razy dziennie	ChPL Reviato ESC/ERS 2022	20,0 mg	90	36,75
Riociguat	2,5 mg 3 razy dziennie	ChPL Adempas ESC/ERS 2022	2,5 mg	42	3 929,08
Epoprostenol	2 ng/kg/min	ChPL Flolan CADTH Seleksypag	1,5 mg	1	261,39
Treprostinil i.v.	1,25 ng/kg/min	ChPL Remodulin CADTH Seleksypag	50,0 mg	1	8 610,54
Treprostinil s.c.	1,25 ng/kg/min	ChPL Remodulin CADTH Seleksypag	50,0 mg	1	8 610,54
Iloprost	5 mcg 6-9 razy dziennie	ChPL Ventavis	0,02 mg	1	60,24
Seleksypag	1,6 mg 2 razy dziennie	ChPL Uptravi ESC/ERS 2022	1,6 mg	60	20 977,50

* Informacja dotycząca dawkowania uwzględnia dawkę docelową.

ChPL – Charakterystyka Produktu Leczniczego; i.v. – dożylnie; PL – złoty polski; s.c. – podskórnice.

2.4.3 Koszt podania leków

W analizie uwzględniono koszty podania epoprostenolu, treprostinilu oraz sotaterceptu, dla których założono, że rozpoczęcie leczenia będzie wymagać hospitalizacji.

W przypadku podawanego dożylnie epoprostenolu przyjęto, że liczba dni hospitalizacji związana z rozpoczęciem leczenia i dostosowaniem dawki wynosić będzie 6,23 (średnia wartość liczby dni hospitalizacji związanych z rozpoczęciem terapii na podstawie różnych źródeł, AE Uptravi). Ponadto terapia epoprostenolem wymaga założenia w warunkach szpitalnych cewnika permanentnego Hickmana. Założono, że wymiana cewnika Hickmana następuje raz w roku i jest rozliczana w ramach świadczenia wytworzenie stałego dostępu naczyniowego z wytworzeniem tunelu podskórnego przeznaczonego do użytku długoterminowego z hospitalizacją. Z analiz HTA dla Uptravi [AE Uptravi/AWA Uptravi] wynika, że sam cewnik jest dostarczany przez firmę farmaceutyczną za darmo, tak też założono w tym przypadku.

Treprostinil może być podawany w ciągłej infuzji dożylniej (i.v., łac. *in venam*) lub podskórnej (s.c., ang. *subcutaneous injection*). Przyjęto, że rozpoczęcie leczenia treprostinilem będzie wymagało jednodniowej hospitalizacji [AE Uptravi/AWA Uptravi]. W przypadku podania dożylnego, będzie to związane z założeniem cewnika Hickmana i przeszkoleniem pacjentów, co rozliczane będzie w ramach świadczenia wytworzenie stałego dostępu naczyniowego z wytworzeniem tunelu podskórnego przeznaczonego do użytku długoterminowego z hospitalizacją. Natomiast rozpoczęcie terapii z podaniem podskórnym rozliczane będzie w ramach hospitalizacji związanej z wykonaniem programu lekowego.

Sotatercept podawany jest w pojedynczym wstrzyknięciu podskórnym. Założono, że rozpoczęcie terapii wymagać będzie jednodniowej hospitalizacji związanej z wykonaniem programu lekowego w celu przeszkolenia pacjentów.

Wg ChPL dla sotaterceptu, przy pierwszych podaniach leku przeprowadzana jest morfologia. Przyjęto, że ten koszt będzie rozliczany w ramach diagnostyki pacjentów objętych programem lekowym.

W przypadku terapii podawanych w ciągłej infuzji dożylniej na podstawie AE Uptravi oraz AWA Uptravi przyjęto, że pompy infuzyjne dostarczane są przez dystrybutora, w związku z czym ich koszty nie zostały uwzględnione w niniejszej analizie.

Wycenę punktową każdego z uwzględnionych świadczeń przemnożono przez odpowiedni współczynnik korygujący. W przypadku procedury „Wytworzenie stałego dostępu naczyniowego z wytworzeniem tunelu podskórnego przeznaczonego do użytku długoterminowego z hospitalizacją (5.52.01.0001423)” wykorzystano współczynnik korygujący dotyczący hospitalizacji na podstawie Zarządzenia 100/2024 ZLC. W przypadku procedury „Hospitalizacja związana z wykonaniem programu lekowego (5.08.07.000001)” wykorzystano współczynnik szacowany z wykorzystaniem danych z Informatora Świadczeń (średnia z wszystkich województw – por. rozdz. 11 analizy ekonomicznej [AE Sotatercept 2025]).

W Tab. 12 i Tab. 13 zebrano koszty jednostkowe świadczeń oraz koszty całkowite hospitalizacji związanej z podaniem leków.

Tab. 12. Koszt jednostkowy świadczeń związanych z podaniem leków

Nazwa i kod świadczenia	Wycena punktowa	Współczynnik korygujący, PLN	Źródło	Koszt jednostkowy, PLN
Wytworzenie stałego dostępu naczyniowego z wytworzeniem tunelu podskórnego przeznaczonego do użytku długoterminowego z hospitalizacją (5.52.01.0001423)	1 352,00	1,78	37/2024/DSOZ; 100/2024 ZLC	2 406,56
Hospitalizacja związana z wykonaniem programu lekowego (5.08.07.000001)	486,72	1,77	29/2025/DGL; Informator Świadczeń JGP	861,49

Tab. 13. Koszt całkowity hospitalizacji związany z podaniem leków

Kategoria kosztu	Liczba dni hospitalizacji	Koszt jednostkowy, PLN	Koszt całkowity, PLN	Częstotliwość
Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: epoprostenol	5,23*	861,49	3 644,12	W pierwszym roku leczenia, przy rozpoczęciu terapii
Hospitalizacja związana z implantacją cewnika permanentnego: epoprostenol	1 (2 dni - pierwszy rok)	2 406,56	2 406,56	Raz w roku (dwie razy w ciągu pierwszego roku)
Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: treprostinil (podanie dożylnie)	1	2 406,56	2 406,56	W pierwszym roku leczenia, przy rozpoczęciu terapii
Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: treprostinil (podanie podskórne)	1	861,49	861,49	W pierwszym roku leczenia, przy rozpoczęciu terapii
Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: sotatercept	1	861,49	861,49	W pierwszym roku leczenia, przy rozpoczęciu terapii

*Z 6,23 dni hospitalizacji związanej z rozpoczęciem terapii epoprostenolem 1 dzień rozliczany jest w ramach hospitalizacji związanej z implantacją cewnika permanentnego, a pozostałe 5,23 dni zgodnie z zasadą, że pierwszy i ostatni dzień sprawozdawany jest jako jeden dzień [AE Uptravi].

Źródła: AE Veletri, AE Uptravi

2.4.4 Koszt podstawowej opieki

Podstawowa opieka obejmuje opiekę nad pacjentami z PAH w uzupełnieniu do aktywnego leczenia. Przyjęto, że będą ją stanowić:

- wizyty kontrolne,
- diagnostyka i monitorowanie w ramach programu lekowego,
- wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach,
- tlenoterapia w warunkach domowych.

Koszty rutynowej opieki nalicza się w modelu tak długo, jak pacjenci pozostają przy życiu, a ich wysokość zależy od stanu zdrowia (klasy WHO FC). Założono, że pogorszenie WHO FC będzie związane ze zwiększonym wykorzystaniem różnych procedur w ramach opieki podstawowej, a poprawa WHO FC będzie zmniejszać jej wykorzystanie.

Koszt wizyt kontrolnych został oszacowany na podstawie Zarządzenie Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego [29/2025/DGL] (por. Tab. 14). Częstotliwość wizyt przyjęto raz na trzy miesiące zgodnie z zapisami programu lekowego oraz europejskimi wytycznymi klinicznymi [ESC/ERS 2022], według których wizyty takie powinny odbywać się co 3-6 miesięcy u pacjentów stabilnych (por. Tab. 15).

Koszt diagnostyki w ramach programu lekowego ustalono na podstawie Zarządzenie Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego [29/2025/DGL] (por. Tab. 14). Koszt diagnostyki wyznaczany jest jako ryczałt roczny, który może być dzielony na mniejsze okresy, tak aby suma wszystkich części nie przekroczyła całkowitej wielkości ryczałtu rocznego (por. Tab. 15).

Przyjęto, że wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach rozliczane będą jako przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu zgodnie z Zarządzeniem Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowego [29/2025/DGL] (por. Tab. 14). Koszt wizyt ambulatoryjnych w nagłych przypadkach zróżnicowano między poszczególnymi klasami WHO FC w oparciu o dane dotyczące zużycia zasobów przedstawione w publikacji Zozaya 2022 (por. Tab. 15).

Tlenoterapię w warunkach domowych wyceniono na podstawie Zarządzenie Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie [10/2025/DSOZ] (por. Tab. 14). Nie odnaleziono wiarygodnych informacji dotyczących odsetków pacjentów stosujących tlenoterapię w Polsce, dlatego w analizie posłużono się danymi z publikacji Zozaya 2022 odnoszącej się do warunków hiszpańskich. Przyjęto, że tlenoterapia będzie stosowana codziennie u tych pacjentów, którzy jej potrzebują (por. Tab. 15).

Wycenę punktową każdego z uwzględnionych świadczeń przemnożono przez odpowiedni współczynnik korygujący. W przypadku procedury „Tlenoterapia w warunkach domowych (5.10.00.0000006)” wykorzystano współczynnik korygujący dotyczący procedur przeprowadzanych w warunkach domowych na podstawie Zarządzenia 100/2024 ZLC. W przypadku procedur związanych z wykonaniem programu lekowego wykorzystano współczynnik szacowany z wykorzystaniem danych z Informatora Świadczeń (średnia z wszystkich województw – por. rozdz. 11 analizy ekonomicznej [AE Sotatercept 2025]).

Tab. 14. Koszt jednostkowy świadczeń w ramach standardowej opieki

Kategoria kosztu	Nazwa i kod świadczenia	Wycena punktowa	Współczynnik korygujący, PLN	Źródło	Koszt jednostkowy, PLN
Wizyty kontrolne	Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu (5.08.07.0000004)	108,16	1,77	29/2025/DGL; Informator o umowach NFZ	191,44
Diagnostyka w ramach programu lekowego	Diagnostyka w programie leczenia tętniczego nadciśnienia płucnego (5.08.08.0000038)	5 840,64	1,77		10 337,93
Wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach	Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonaniem programu (5.08.07.0000003)	486,72	1,77		861,49
Tlenoterapia w warunkach domowych	Tlenoterapia w warunkach domowych (5.10.00.0000006)	11,49	1,01	10/2025/DSOZ; 100/2024 ZLC	11,60

Tab. 15. Roczny koszt świadczeń w ramach standardowej opieki

Kategoria	Koszt jednostkowy, PLN	Roczne zużycie zasobów	Roczny koszt, PLN
Wizyty kontrolne	191,44	4	765,77
Diagnostyka w ramach programu lekowego	10 337,93	1	10 337,93
Wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach: WHO FC I i II	861,49	3,50	3 015,23
Wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach: WHO FC III		3,60	3 101,38
Wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach: WHO FC IV		7,20	6 202,76
Tlenoterapia w warunkach domowych: WHO FC I i II	11,60 (osobodzień terapii)	22% pacjentów	931,87*
Tlenoterapia w warunkach domowych: WHO FC III		58% pacjentów	2 456,76*
Tlenoterapia w warunkach domowych: WHO FC IV		67% pacjentów	2 837,98*
Źródło	por. Tab. 14	Zozoya 2022	Oszacowanie

* Przyjęto, że tlenoterapia będzie stosowana codziennie u tych pacjentów, którzy jej potrzebują. FC – klasa czynnościowa; WHO – World Health Organization.

W Tab. 16 zebrano całkowite roczne koszty standardowej opieki z podziałem na klasy WHO FC. W publikacji źródłowej Zozoya 2022 zużycie zasobów zostało pokazane łącznie dla klas WHO FC I i II. W związku z tym, założono, że koszty w klasie I i II są takie same.

Tab. 16. Roczny koszt standardowej opieki z podziałem na klasy WHO FC

Kategoria	WHO FC I	WHO FC II	WHO FC III	WHO FC IV
Wizyty kontrolne	765,77	765,77	765,77	765,77
Diagnostyka w ramach programu lekowego	10 337,93	10 337,93	10 337,93	10 337,93
Wizyty ambulatoryjne w nagłych przypadkach	3 015,23	3 015,23	3 101,38	6 202,76
Tlenoterapia w warunkach domowych	931,87	931,87	2 456,76	2 837,98
Suma	15 050,81	15 050,81	16 661,84	20 114,44

Wszystkie koszty podano w PLN.

PLN – polski złoty; WHO FC – klasa czynnościowa WHO.

2.4.5 Koszty hospitalizacji i przeszczepienia płuca

Pacjenci z TNP często wymagają hospitalizacji, a ci, u których pomimo maksymalnej farmakoterapii doszło do pogorszenia stanu klinicznego, mogą wymagać przeszczepu płuc jako końcowej opcji terapeutycznej.

W analizie przyjęto, że w przypadku wystąpienia zdarzenia, które będzie wymagało hospitalizacji, świadczenie to zostanie rozliczone w ramach grupy JGP D53 Nadciśnienie płucne. Przeszczep płuca zostanie natomiast rozliczone w ramach świadczenia „wariant 1 - przeszczepienie jednego płuca, obejmuje leczenie pacjenta w okresie pooperacyjnym do 30 dni od daty wykonania przeszczepienia”.

Wycenę punktową każdego z uwzględnionych świadczeń przemnożono przez odpowiedni współczynnik korygujący. Wykorzystano współczynnik korygujący dotyczący hospitalizacji na podstawie Zarządzenia 100/2024 ZLC.

Koszty ww. świadczeń zebrano w Tab. 17.

Tab. 17. Koszt hospitalizacji i przeszczepu płuca

Kategoria kosztu	Nazwa i kod świadczenia	Wycena punktowa	Współczynnik korygujący, PLN	Źródło	Koszt jednostkowy, PLN
Hospitalizacja	Hospitalizacja (D53 Nadciśnienie płucne; 5.51.01.0004053) (5.08.07.0000003)	5 551,00	1,78	120/2024/DSOZ; 100/2024 ZLC	9 880,78
Przeszczep płuca	wariant 1 - przeszczepienie jednego płuca, obejmuje leczenie pacjenta w okresie pooperacyjnym do 30 dni od daty wykonania przeszczepienia (5.54.01.0000017)	204 638,00	1,78	37/2024/DSOZ; 100/2024 ZLC	364 255,64

2.4.6 Koszty opieki terminalnej

Koszty leczenia zwykle znacznie wzrastają w ostatnich miesiącach życia pacjentów. W analizie założono, że będą je stanowić przede wszystkim koszty opieki terminalnej. Jako koszt opieki terminalnej przyjęto koszt pobytu pacjenta w szpitalu, hospicjum lub hospicjum domowym w ciągu ostatnich 14 dni. Wagę punktową świadczenia przyjęto z rozporządzenia Prezesa NFZ w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hospicyjna (por. Tab. 18) [54/2024/DSOZ].

Tab. 18. Waga punktowa/taryfa opieki terminalnej

Kod zakresu świadczeń	Nazwa świadczenia	Waga punktowa produktu rozliczeniowego / Taryfa	Źródło
15.4180.021.02	Świadczenia w oddziale medycyny paliatywnej / hospicjum stacjonarnym	7,19*	54/2024/DSOZ
15.2180.027.02	Świadczenia w hospicjum domowym	1,08 [#]	54/2024/DSOZ

*Taryfa z produktu rozliczeniowego 5.15.00.0000146 (osobodzień w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym)

[#]Taryfa z produktu rozliczeniowego 5.15.00.0000149 (osobodzień w hospicjum domowym)

Na podstawie danych z informatora NFZ na temat umów zawartych z poszczególnymi oddziałami NFZ wyceniono punkt rozliczeniowy w ramach opieki terminalnej (por. Tab. 19) [NFZ IOU].

Tab. 19. Cena punktu rozliczeniowego – opieka terminalna

Kod zakresu świadczeń	Nazwa świadczenia	Cena punktu rozliczeniowego [PLN]	Źródło
15.4180.021.02	Świadczenia w oddziale medycyny paliatywnej / hospicjum stacjonarnym	110,50	NFZ IOU
15.2180.027.02	Świadczenia w hospicjum domowym	108,67	NFZ IOU

Koszt osobodnia w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym oraz hospicjum domowym wyliczono jako iloczyn wagi punktowej/taryfy oraz wyceny punktu rozliczeniowego z informatora NFZ na temat umów zawartych z poszczególnymi oddziałami NFZ. W analizie przyjęto koszt ostatnich 14 dni życia pacjenta. Koszt opieki terminalnej wyznaczono jako średnią ważoną kosztu ostatnich 14 dni opieki w oddziale medycyny paliatywnej/hospicjum stacjonarnym oraz w hospicjum domowym, jako wagi przyjęto liczby osobodni rozliczonych dla tych świadczeń przez NFZ w 2023 roku [Uchwała Rady NFZ] (por. Tab. 20.). Koszt opieki terminalnej naliczany jest w momencie zgonu pacjenta. Całość kosztów ponosi płatnik publiczny.

Tab. 20. Koszt opieki terminalnej

Nazwa świadczenia	Waga punktowa produktu rozliczeniowego / Taryfa	Cena punktu rozliczeniowego [PLN]	Koszt osobodnia [PLN]	Koszt ostatnich 14 dni [PLN]	Liczba osobodni rozliczonych w 2023 r.
Opieka terminalna – w oddziale medycyny paliatywnej / hospicjum stacjonarnym	7,19	110,50	794,50	11 122,93	1 447 919,00
Opieka terminalna – hospicjum domowe	1,08	108,67	117,36	1 643,09	4 585 806,00
Średni koszt					3 917,98

2.5 Zakres analizy wrażliwości

Przeprowadzono analizę wrażliwości, w której testowano wpływ danych wejściowych obarczonych największą niepewnością oszacowań na wyniki analizy. Poniżej zdefiniowano warianty analizy wrażliwości, które wykorzystano, aby zbadać odporność uzyskiwanych wyników na niepewność dotyczącą wielkości populacji uwzględnionej w niniejszej analizie. Każdy z analizowanych wariantów niniejszej analizy przeprowadzono uwzględniając dwa warianty cenowe: nieuwzględniający oraz uwzględniający mechanizm dzielenia ryzyka.

2.5.1 Wariant minimalny

W wariantcie minimalnym analizy wrażliwości zbadano wpływ dostępności sotaterceptu na wydatki, przy założeniu, że populacja docelowa wyniesie jedynie [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] (por. Tab. 21).

Tab. 21. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) w wariantcie minimalnym – dane z ankiet

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
Terapia dwulekowa				
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
Terapia trzylekowa				

b.d. – brak danych; BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; FC – klasa czynnościowa (ang. *functional class*); ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO – riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – Treprostinil; WHO – Światowa Organizacja Zdrowia (ang. *World Health Organization*).

2.5.2 Wariant maksymalny

W wariantcie maksymalnym analizy wrażliwości zbadano wpływ dostępności sotaterceptu na wydatki, przy założeniu, że populacja docelowa wyniesie [REDACTED]

[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED]
[REDACTED] (por. Tab. 22).

Tab. 22. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) w wariantcie maksymalnym – dane z ankiet

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO FC, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
Terapia dwulekowa				

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Pacjenci w II i III klasie WHO FC, n (%)	Pacjenci z niepowodzeniem/nietolerancją, n (%)	Sotatercept, (%) / n
██████	█	██████	██████	███ █
██████	█	██████	██████	███ █
███	███	██████	██████	███ █
██████	██████	███	███	███ █
Terapia trzylekowa				
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	███	██████	██████	███ █
██████	█	██████	██████	███ █
███	█	███	███	███ █
██████	██████	███	███	███ █

b.d. – brak danych; BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; FC – klasa czynnościowa (ang. *functional class*); ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO – riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – Treprostinil; WHO – Światowa Organizacja Zdrowia (ang. *World Health Organization*).

2.5.3 Zestawienie parametrów analizy wrażliwości i wariantu podstawowego

W ramach analizy wrażliwości testowano wpływ zmiany wartości parametrów dotyczących szacunków przyszłej populacji na szacunki kosztów. W Tab. 23 przedstawiono zmienne testowane w ramach analizy wrażliwości.

Co istotne, aby przetestować warianty przeprowadzonej analizy wrażliwości w załączonym do wniosku modelu należy wybrać odpowiednie ustawienia w zakładce „User inputs”, a następnie, w celu otrzymania aktualnych wyników, wcisnąć przycisk „Run Results” w zakładce „Full Results with current input”.

Tab. 23. Założenia analizy wrażliwości i wariantu podstawowego – wielkość populacji uwzględnionej w niniejszej analizie

Zmienna testowana		Wariant podstawowy	Wariant minimalny	Wariant maksymalny
I rok analizy	terapia dwulekowa	███	███	███
	terapia trzylekowa	███	███	███
	łącznie	██████	███	██████
II rok analizy	terapia dwulekowa	███	███	███
	terapia trzylekowa	███	███	███
	łącznie	██████	███	██████

Zmienna testowana	Wariant podstawowy	Wariant minimalny	Wariant maksymalny
-------------------	--------------------	-------------------	--------------------

2.6 Zestawienie danych wykorzystanych w niniejszej analizie

W Tab. 24 przedstawiono zestawienie parametrów, wraz z ich źródłami, wykorzystanych w niniejszej analizie.

Tab. 24. Zestawienie danych wykorzystanych w niniejszej analizie

Założenie/parametr		Wartość w analizie podstawowej		Źródło
Roczna liczba pacjentów włączanych do leczenia (I; II rok analizy)	wariant podstawowy			BNP-PL, badanie ankietowe, obliczenia własne
	wariant minimalny			
	wariant maksymalny			
Względne ryzyko poprawy FC w odniesieniu do terapii podstawowej				STELLAR
Względne ryzyko pogorszenia FC w odniesieniu do terapii podstawowej				STELLAR
Początkowy rozkład pacjentów w zależności od klasy WHO FC	WHO FC I		0,0%	Kopeć 2020
	WHO FC II		51,5%	
	WHO FC III		48,5%	
	WHO FC IV		0,0%	
prawdopodobieństwo przejścia między stanami modelu		Sotatercept + terapia podstawowa	Placebo + terapia podstawowa	-
Przejście z WHO FC I* do:	WHO FC I			STELLAR
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z WHO FC II do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z WHO FC III do:	WHO FC I			
	WHO FC II			

Założenie/parametr		Wartość w analizie podstawowej		Źródło
Przejście z WHO FC IV* do:	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Przejście z przeszczepienie płuca/serca do:	WHO FC I			
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca			
	Zgon			
Roczne prawdopodobieństwo hospitalizacji z powodu nadciśnienia płucnego	WHO FC I			COMPERA
	WHO FC II			
	WHO FC III			
	WHO FC IV			
	Po przeszczepieniu płuca/serca	8,0%	8,0%	Założenie***
Struktura pacjentów w ramach terapii podstawowej, %	Bosentan			badanie ankietowe, obliczenia własne
	Macitentan			
	Sildenafil			
	Riociguat			
	Epoprostenol			
	Treprostinil i.v.			
	Treprostinil s.c.			
	Iloprost			
	Seleksypag			
Koszty sotaterceptu, bez RSS	Winrevair® 45 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań			Informacja zamawiającego
	Winrevair® 60 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań			
	Winrevair® 90 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań			

Założenie/parametr		Wartość w analizie podstawowej	Źródło
	Winrevair® 120 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań		
Koszty sotaterceptu, z RSS	Winrevair® 45 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań		Informacja zamawiającego
	Winrevair® 60 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań		
	Winrevair® 90 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań		
	Winrevair® 120 mg, proszek do sporządzania roztworu do wstrzykiwań		
Koszty pozostałych leków	Bosentan	494,54 PLN	Komunikat DGL
	Macitentan	5 768,19 PLN	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
	Sildenafil	36,75 PLN	Komunikat DGL
	Riociguat	3 929,08 PLN	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
	Epoprostenol	261,39 PLN	
	Treprostinil	8 610,54 PLN	Komunikat DGL
	Iloprost	60,24 PLN	Raport refundacyjny 2025, Uchwała Rady NFZ
	Seleksypag	20 977,50 PLN	
Koszty podania leków	Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: epoprostenol	3 644,12 PLN	Oszacowanie na podstawie AE Uptravi, 37/2024/DSOZ, 100/2024 ZLC, Informatora Świadczeń
	Hospitalizacja związana z implantacją cewnika permanentnego: epoprostenol	2 406,56 PLN	
	Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: treprostinil i.v.	2 406,56 PLN	
	Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: treprostinil s.c.	861,49 PLN	
	Hospitalizacja związana z rozpoczęciem leczenia: sotatercept	861,49 PLN	
Koszty podstawowej opieki	WHO FC I	15 050,81 PLN	Oszacowanie, por. rozdz. 2.4.4
	WHO FC II	15 050,81 PLN	
	WHO FC III	16 661,84 PLN	
	WHO FC IV	20 114,44 PLN	
Koszty pozostałych świadczeń	Hospitalizacja	9 880,78 PLN	120/2024/DSOZ; 52/2023 ZLC
	Przeszczep płuca	364 255,64 PLN	37/2024/DSOZ; 100/2024 ZLC
	Średni koszt opieki terminalnej	3 917,98 PLN	Oszacowanie

Założenie/parametr	Wartość w analizie podstawowej	Źródło
--------------------	--------------------------------	--------

*Ze względu na niewielką liczbę pacjentów w grupach FC I i FC IV, jednakowe, zebrane dane łączne dla obu ramion były wykorzystane do parametryzacji obu ramion: sotatercept + BGT oraz BGT, zakładając brak różnic w prawdopodobieństwach przejść z grup FC I i FC IV pomiędzy ramionami terapii.

[REDACTED]

*** Przyjęto, że dane wejściowe dla stanu „po przeszczepieniu płuca/serca” są takie same jak w stanie WHO FC I ze względu na brak danych dotyczących przeszczepu w badaniu STELLAR i literaturze w ogóle, co wynikało głównie z rzadkiego charakteru przeszczepu u pacjentów z PAH. BNP-PL – Ogólnopolska Baza Nadciśnienia Płucnego; CHB – cena hurtowa brutto; FC – klasa czynnościowa; i.v. – podanie dożylne (łac. *in venam*); RSS – mechanizm dzielenia ryzyka; s.c. – podanie podskórne (ang. *subcutaneous injection*); WHO – World Health Organization.

3 Wyniki analizy wpływu na budżet

3.1 Aktualne roczne wydatki NFZ

W celu oszacowania aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, przyjęto liczebność populacji oparta na danych pochodzących z ogólnopolskiej bazy nadciśnienia płucnego (BNP-PL) oraz przeprowadzonego badania ankietowego (por. rozdz. 2.2.2). Analogicznie do scenariuszy niniejszej analizy, przyjęto, że pacjenci będą wchodzić do modelu kwartalnie, a całkowita roczna liczba pacjentów objętych leczeniem wyniesie [REDACTED]

[REDACTED], por. Tab. 3). Szacowanie aktualnych rocznych wydatków NFZ, ponoszonych na leczenie całej populacji docelowej nie jest tożsame z kosztami pierwszego roku scenariusza istniejącego, gdyż są to szacowania kosztów dla różnych wielkości populacji.

W Tab. 25 przedstawiono strukturę pacjentów otrzymujących dany lek w ramach terapii podstawowej wśród pacjentów z niepowodzeniem/nietolerancją dotychczasowego leczenia oraz względną zmianę terapii w zależności od stopnia zaawansowania klasy WHO FC.

Tab. 25. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej wśród pacjentów po niepowodzeniu leczenia

Rodzaj terapii	Struktura pacjentów w ramach terapii podstawowej, %	Zmiana w odniesieniu do struktury podstawowej po roku od wejścia do modelu			
		WHO FC I	WHO FC II	WHO FC III	WHO FC I
Terapia dwulekowa					
Bosentan		0,0%	0,0%	0,0%	26,0%
Macitentan		0,0%	0,0%	0,0%	26,0%
Sildenafil		0,0%	0,0%	0,0%	-22,4%
Riociguat		0,0%	0,0%	0,0%	40,7%
Epoprostenol		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil i.v.		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil s.c.		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Iloprost		-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Seleksypag		-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Terapia trzylekowa					
Bosentan		0,0%	0,0%	0,0%	0,0%
Macitentan		0,0%	0,0%	0,0%	0,0%
Sildenafil		0,0%	0,0%	0,0%	0,0%
Riociguat		0,0%	0,0%	0,0%	40,7%
Epoprostenol		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil i.v.		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%
Treprostinil s.c.		-90,0%	0,0%	0,0%	58,1%

Rodzaj terapii	Struktura pacjentów w ramach terapii podstawowej, %	Zmiana w odniesieniu do struktury podstawowej po roku od wejścia do modelu			
		WHO FC I	WHO FC II	WHO FC III	WHO FC I
Iloprost	██████	-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Seleksypag	██████	-90,0%	0,0%	0,0%	114,5%
Źródło	Obliczenia na podstawie ankiety ekspertów	Obliczenia na podstawie Pizzicato 2022			

FC – klasa czynnościowa (ang. *functional class*); i.v. – podanie dożylne (łac. *in venam*); s.c. – podanie podskórne (ang. *subcutaneous injection*); WHO – Światowa Organizacja Zdrowia (ang. *World Health Organization*).

Oszacowane aktualne roczne wydatki (uwzględniające koszty leków, ich podania, opieki podstawowej, hospitalizacji i przeszczepów oraz opieki terminalnej) podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku wyniosły ████████ PLN – patrz tabela poniżej.

Tab. 26. Aktualne roczne wydatki NFZ

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (jednakowe dla wariantu z oraz bez RSS)
Koszty leków (wszystkich)	████████████████████
w tym koszty sotaterceptu	█
Koszty podania leków	████████████████████
Koszty opieki podstawowej	████████████████████
Koszty hospitalizacji i przeszczepu	████████████████████
Koszty opieki terminalnej	████████████████████
Koszty sumaryczne	████████████████████

Wszystkie koszty podano w PLN.

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm podziału ryzyka.

Ponieważ preparat Winrevair® nie jest w tej chwili refundowany w żadnym wskazaniu, koszty aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie preparatem Winrevair® (w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową) pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku wynoszą 0 PLN.

Co istotne, aby odtworzyć przeprowadzone obliczenia aktualnych rocznych wydatków NFZ w załączonym modelu należy wprowadzić dane wejściowe zgodnie z powyższym opisem, a następnie wcisnąć przycisk „Run Results” w zakładce „Full Results with current input”.

3.2 Wariant podstawowy

W przypadku wariantu podstawowego bez uwzględnienia schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio ██████████

██████████ w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły ██████████ w I i II roku analizy i były ██████████ od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio o 49 183 213,58 PLN i 129 050 154,38 PLN (por. Tab. 27).

W przypadku wariantu podstawowego z uwzględnieniem schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio ██████████ w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły ██████████ w I i II roku analizy i były ██████████ od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio ██████████ (por. Tab. 27).

Tab. 27. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszty leków (wszystkich)	██████████	██████████	██████████	██████████
w tym koszty sotaterceptu	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty podania leków	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty opieki podstawowej	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty hospitalizacji i przeszczepu	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty opieki terminalnej	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty sumaryczne	██████████	██████████	██████████	██████████
Scenariusz nowy				
Koszty leków (wszystkich)	██████████	██████████	██████████	██████████
w tym koszty sotaterceptu	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty podania leków	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty opieki podstawowej	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty hospitalizacji i przeszczepu	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty opieki terminalnej	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty sumaryczne	██████████	██████████	██████████	██████████
Koszty inkrementalne				
Koszty leków (wszystkich)	██████████	██████████	██████████	██████████
w tym koszty sotaterceptu	██████████	██████████	██████████	██████████

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Koszty podania leków	████████	████████	████████	████████
Koszty opieki podstawowej	████████	████████	████████	████████
Koszty hospitalizacji i przeszczepu	████████	████████	████████	████████
Koszty opieki terminalnej	████████	████████	████████	████████
Koszty sumaryczne	49 183 213,58	129 050 154,38	████████	████████

Wszystkie koszty podano w PLN.

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm podziału ryzyka.

3.3 Wariant minimalny

W przypadku wariantu minimalnego bez uwzględnienia schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio ██████████ w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły ██████████ w I i II roku analizy i były ██████████ od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio o 37 686 442,95 PLN i 98 895 288,89 PLN (por. Tab. 28).

W przypadku wariantu minimalnego z uwzględnieniem schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio ██████████ w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły ██████████ w I i II roku analizy i były ██████████ od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio ██████████ (por. Tab. 28).

Tab. 28. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszty leków (wszystkich)	████████	████████	████████	████████
w tym koszty sotaterceptu	████████	████████	████████	████████
Koszty podania leków	████████	████████	████████	████████
Koszty opieki podstawowej	████████	████████	████████	████████
Koszty hospitalizacji i przeszczepu	████████	████████	████████	████████
Koszty opieki terminalnej	████████	████████	████████	████████
Koszty sumaryczne	████████	████████	████████	████████
Scenariusz nowy				
Koszty leków (wszystkich)	████████	████████	████████	████████
w tym koszty sotaterceptu	████████	████████	████████	████████
Koszty podania leków	████████	████████	████████	████████

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Koszty opieki podstawowej				
Koszty hospitalizacji i przeszczepu				
Koszty opieki terminalnej				
Koszty sumaryczne				
Koszty inkrementalne				
Koszty leków (wszystkich)				
w tym koszty sotaterceptu				
Koszty podania leków				
Koszty opieki podstawowej				
Koszty hospitalizacji i przeszczepu				
Koszty opieki terminalnej				
Koszty sumaryczne	37 686 442,95	98 895 288,89		

Wszystkie koszty podano w PLN.

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm podziału ryzyka.

3.4 Wariant maksymalny

W przypadku wariantu maksymalnego bez uwzględnienia schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio [REDACTED] w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły [REDACTED] w I i II roku analizy i były [REDACTED] od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio o 69 832 800,16 PLN i 183 260 531,39 PLN (por. Tab. 29).

W przypadku wariantu maksymalnego z uwzględnieniem schematu podziału ryzyka oszacowane koszty roczne dla preparatu Winrevair® wyniosły odpowiednio [REDACTED] w I i II roku analizy. Łączne koszty leczenia w scenariuszu nowym wyniosły [REDACTED] w I i II roku analizy i były [REDACTED] od kosztów dla scenariusza obecnego odpowiednio [REDACTED] (por. Tab. 29).

Tab. 29. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
Scenariusz istniejący				
Koszty leków (wszystkich)				

Kategoria kosztów	Perspektywa NFZ (bez RSS)		Perspektywa NFZ (z RSS)	
	I rok	II rok	I rok	II rok
w tym koszty sotaterceptu				
Koszty podania leków				
Koszty opieki podstawowej				
Koszty hospitalizacji i przeszczepu				
Koszty opieki terminalnej				
Koszty sumaryczne				
Scenariusz nowy				
Koszty leków (wszystkich)				
w tym koszty sotaterceptu				
Koszty podania leków				
Koszty opieki podstawowej				
Koszty hospitalizacji i przeszczepu				
Koszty opieki terminalnej				
Koszty sumaryczne				
Koszty inkrementalne				
Koszty leków (wszystkich)				
w tym koszty sotaterceptu				
Koszty podania leków				
Koszty opieki podstawowej				
Koszty hospitalizacji i przeszczepu				
Koszty opieki terminalnej				
Koszty sumaryczne	69 832 800,16	183 260 531,39		

Wszystkie koszty podano w PLN.

NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia; PLN – polski złoty; RSS – mechanizm podziału ryzyka.

3.5 Podsumowanie wyników analizy wpływu na budżet

Wyniki wszystkich wariantów przeprowadzonej analizy, w wersji bez i z RSS wskazują, że pozytywna decyzja refundacyjna będzie generowała dodatkowe wydatki z perspektywy NFZ (tożsamej z perspektywą wspólną) (por. Tab. 30).

Tab. 30. Zestawienie wyników całkowitych kosztów inkrementalnych wszystkich wariantów niniejszej analizy

Wariant analizy	Wersja bez RSS		Wersja z RSS	
	I rok analizy	II rok analizy	I rok analizy	II rok analizy
podstawowy	49 183 213,58	129 050 154,38		
minimalny	37 686 442,95	98 895 288,89		
maksymalny	69 832 800,16	183 260 531,39		

Wszystkie koszty podano w PLN.

PLN – polski złoty; RSS – mechanizm podziału ryzyka.

4 Dyskusja wyników i ograniczeń

Celem niniejszej analizy było oszacowanie wpływu na wydatki płatnika publicznego wydania pozytywnej decyzji o objęciu leku Winrevair® (sotatercept) stosowanego w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową finansowaniem w ramach istniejącego programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” w populacji dorosłych pacjentów z tętnicznym nadciśnieniem płucnym z klasą czynnościową II do III wg Światowej Organizacji Zdrowia, u których dotychczasowe leczenie schematem dwulekowym oraz trójkowym jest nieskuteczne lub źle tolerowane.

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) w horyzoncie dwóch kolejnych lat. W analizie uwzględniono koszty leków, ich podania w ramach programu lekowego, koszty hospitalizacji, koszty podstawowej opieki (w ramach której uwzględniano koszty wizyt kontrolnych, diagnostyki i monitorowania, wizyt ambulatoryjnych oraz tlenoterapii – koszty ponoszone w ramach programu lekowego oraz dodatkowe, nieuwzględnione w programie lekowym) oraz koszty opieki terminalnej.

Analiza scenariuszowa objęła scenariusz istniejący, w którym przyjęto brak refundacji sotaterceptu w analizowanym wskazaniu, oraz scenariusz nowy, w którym założono objęcie refundacją preparatu Winrevair® w ramach istniejącego programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)”. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrywano trzy warianty: podstawowy, minimalny i maksymalny, różniące się wielkością populacji uwzględnionej w niniejszej analizie. Analizę przeprowadzono w dwóch wersjach cenowych: bez uwzględnienia mechanizmu dzielenia ryzyka (RSS) oraz z uwzględnieniem RSS (redukującego koszty płatnika publicznego) – na podstawie informacji Zamawiającego o cenie sotaterceptu oraz danych NFZ 2025 o efektywnych cenach dla pozostałych leków uwzględnionych w niniejszej analizie.

Oszacowanie wielkości populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie, a tym samym zgodnie z jej definicją przyszłych udziałów sotaterceptu w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową w rynku leków w scenariuszu nowym, zostało określone na podstawie opinii ekspertów i są to wartości z ograniczoną niepewnością. Należy jednak podkreślić, że szacunki te oparte są tym samym na analizie danych dotyczących rzeczywistej praktyki klinicznej, stanowią więc rzetelne przybliżenie rzeczywistości. Dodatkowo dla parametrów tych została przeprowadzona analiza wrażliwości testująca odporność uzyskanych wyników na niepewność dotyczącą przeprowadzonych oszacowań.

Ograniczeniem analizy jest fakt, że model opiera się na wynikach klinicznych w populacji badania STELLAR, które mogą nie być odzwierciedlone na rzeczywistej populacji pacjentów z potencjalnie różnymi profilami pacjentów (takimi jak wyjściowy stan FC, skład terapii podstawowej i wiek). Jednak ograniczenie to prawdopodobnie będzie miało niewielki wpływ na szacowane inkrementalnej zmiany wydatków w ramach niniejszej analizy, biorąc pod uwagę, że wyniki badania STELLAR pokazują, że względny efekt leczenia między sotaterceptem + terapią podstawową a placebo + terapią podstawową był spójny we wstępnie określonych podgrupach, w tym, ale nie wyłącznie, w definicji terapii podstawowej.

Ponadto wiemy, że wielu pacjentów może zmienić leki lub dodać dodatkowy lek (w przypadku pacjentów, u których nie powiodło się leczenie terapią dwulekową). Zgodnie z wynikami przeprowadzonego badania ankietowego [REDAKTOWANO]. Niemniej w modelu pacjenci w ramach terapii podstawowej pozostają na swojej obecnej terapii do momentu eskalacji do WHO FC IV. Wiąże się to z niedoszacowaniem kosztów terapii podstawowej, zwłaszcza wśród pacjentów stosujących terapię dwulekową, u których terapia ta się nie powiodła (była nieskuteczna lub źle tolerowana). W rezultacie otrzymane wyniki inkrementalne są nieco zawyżone z powodu niedoszacowania rocznych kosztów zakupu leków na terapię podstawową. Tym samym stanowi to konserwatywne założenie niniejszej analizy.

Wyniki wszystkich wariantów przeprowadzonej analizy, w wersji bez i z RSS wskazują, że pozytywna decyzja refundacyjna będzie [REDAKTOWANO] z perspektywy NFZ (tożsamej z perspektywą wspólną) (por. Tab. 30).

Wynik inkrementalnej zmiany wydatków wynikają głównie z kosztów nabycia sotaterceptu, co jest spowodowane faktem, że sotatercept ma być stosowany jako terapia uzupełniająca do terapii podstawowej (dwu- lub trzylekowej), a nie zastępować istniejące terapie. Jednocześnie stosowanie sotaterceptu wiąże się ze zmniejszeniem liczby hospitalizacji z powodu PAH, przeszczepów płuc/serca, zgonów oraz liczby pacjentów wymagających stosowania dożylnych prostacyklin (epoprostenolu lub treprostinilu) a tym samym ze zmniejszeniem kosztów medycznych (takich jak: koszty podstawowej opieki, hospitalizacji i przeszczepów oraz koszty opieki terminalnej).

W decyzji o ewentualnej refundacji należy uwzględnić także dodatkowe korzyści zdrowotne, tj. wyniki analizy wpływu na budżet rozpatrywać w kontekście korzystnych wyników analizy klinicznej i kosztowej-efektywności. Stosowanie sotaterceptu w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową wiąże się z poprawą wyników testu 6-minutowego marszu będącego sprawdzonym, klinicznie istotnym pomiarem wydolności fizycznej i wydolności funkcjonalnej. Ponadto istotnie wpływa na polepszenie wieloskładnikowej poprawy stanu zdrowia oraz poprawy klasy czynnościowej WHO przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa. Wyniki przeprowadzonej analizy skuteczności wskazują tym samym, że dodanie sotaterceptu do schematu optymalnego leczenia podstawowego przynosiło poprawę istotną zarówno statystycznie jak i klinicznie. Dodatkowo wyniki analizy ekonomicznej jednoznacznie wskazują na wysoką korzyść kliniczną w postaci [REDAKTOWANO] przeżycia pacjenta ([REDAKTOWANO]), jak również uzyskanych dodatkowych lat życia skorygowanych o jego jakość ([REDAKTOWANO]).

Ponadto odpowiednio dobrana terapia do określonego stanu klinicznego chorego przyczyni się do zwiększenia skuteczności jej leczenia, a tym samym do poprawy sytuacji chorych z tętnicznym nadciśnieniem płucnym. Wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej w przypadku PAH jest znaczące, a związane z tym koszty są średnio cztery razy wyższe niż w przypadku pacjentów bez PAH, głównie z powodu częstych i kosztownych hospitalizacji, wizyt ambulatoryjnych oraz wizyt w stanie nagłym. Wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej w przypadku PAH jest przede wszystkim napędzane przez hospitalizacje, które występują często i wiążą się z wysokimi kosztami. Średnia długość pobytu pacjentów hospitalizowanych z powodu zdarzeń związanych z PAH wynosi od 3,8 do 4,4 dni, co jest dłuższe niż pobyty pacjen-

tów hospitalizowanych z powodu zdarzeń niezwiązanych z PAH (od 2,3 do 2,6 dni) w tej samej populacji pacjentów. Znaczący wpływ to na wykorzystanie zasobów opieki zdrowotnej wskazuje na potrzebę poprawy strategii leczenia, które mogą zmniejszyć postęp choroby i liczbę hospitalizacji [Exposto 2021].

Wytyczne dotyczące leczenia PAH zalecają wczesne leczenie skojarzone, które celuje w szlaki sygnałowe endoteliny i tlenku azotu (ERA + PDE5i), a następnie eskalację do terapii prostacyklinowej w miarę postępu choroby. Obecne wytyczne uznają potrójną terapię skojarzoną, celującą w każdy szlak sygnałowy powodujący wazodylatację, w tym stosowanie prostacykliny podawanej parenteralnie, za maksymalną terapię medyczną przed przeszczepem płuc lub serca [ESC/ERS 2022]. Eksperci w dziedzinie tętniczego nadciśnienia płucnego zidentyfikowali zatrzymanie lub odwrócenie remodelowania naczyniowego płuc, które jest podstawową przyczyną PAH, jako kluczową potrzebę dla przyszłych terapii [Humbert 2023].

5 Wnioski końcowe

Przeprowadzona analiza wykazała, że pozytywna decyzja o objęciu preparatu leku Winrevair® (sotatercept) stosowanego w skojarzeniu z terapią dwu- lub trzylekową finansowaniem w ramach istniejącego programu lekowego B.31 „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)” z perspektywy NFZ, zarówno w pierwszym, jak i w drugim roku analizy.

Dla analizy podstawowej bez uwzględnienia schematu podziału ryzyka z perspektywy płatnika publicznego będą to wydatki zwiększone o 49 183 213,58 PLN w pierwszym roku analizy i 129 050 154,38 PLN w drugim roku analizy. Natomiast w wersji analizy uwzględniającej RSS stosowanie preparatu Winrevair® z perspektywy NFZ będzie odpowiednio w pierwszym i drugim roku.

Stabilność wnioskowania w odniesieniu do uzyskiwanych wyników została potwierdzona we wszystkich wariantach analizy wrażliwości. wprowadzenie wnioskowanej refundacji jest zasadne, gdyż przyczyni się do zwiększenia spektrum terapeutycznego w leczeniu dorosłych chorych z tętnicznym nadciśnieniem płucnym z klasą czynnościową II do III wg WHO, u których dotychczasowe leczenie schematem dwulekowym oraz trójkowym jest nieskuteczne lub źle tolerowane i tym samym umożliwi specjalistom w tej dziedzinie wybór sposobu podania leku najkorzystniejszy dla określonego chorego. Dodatkowo należy mieć na uwadze, że nowa opcja terapeutyczna, zgodnie z wynikami przeprowadzonej analizy klinicznej, istotnie wpływa na polepszenie wyników testu 6-minutowego marszu będącego sprawdzonym, klinicznie istotnym pomiarem wydolności fizycznej i wydolności funkcjonalnej. Ponadto istotnie wpływa na polepszenie wieloskładnikowej poprawy stanu zdrowia oraz poprawy klasy czynnościowej WHO przy akceptowalnym profilu bezpieczeństwa.

6 Aneks 1. Wyniki ankiety



Tab. 31.

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
Terapia dwulekowa								
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██		██	██			██
██████████	██			██				██
██████████	██							██
Terapia trójlekowa								
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█							

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██	█							
██████████	██							██

BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO – riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – treprostinil.

Tab. 33.

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
Terapia dwulekowa								
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██			██
██	██			██				██
██████████	██							██

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
Terapia trójlekowa								
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█							
██████████	██							██

BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO – riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – treprostinil.

Tab. 34.

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
Terapia dwulekowa								
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██
██████████	█	██	██	██	██	██	██	██

Rodzaj terapii	Ogólna liczba pacjentów	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██			██
██████████	1			██				██
██████████	1							██
Terapia trójlekowa								
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1	██	██	██	██	██	██	██
██████████	1							
██████████	1							██

BOS – bosentan; EPO – epoprostenol; ILO – iloprost; MAC – macytentan; RIO - riociguat; SEL – seleksypag; SIL – sildenafil; TRE – treprostinil.

Tab. 35.

██████████	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana	Korekta mediany
██████████	██	██	██	██	██	██	██	██

	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana	Korekta me- diany

Tab. 36.

Rodzaj terapii	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana	Korekta me- diany

Winrevair® (sotatercept) w skojarzeniu z innymi terapiami stosowanymi w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego

Rodzaj terapii	Ekspert I	Ekspert II	Ekspert III	Ekspert IV	Ekspert V	Ekspert VI	Mediana	Korekta me- diany

Spis tabel

Tab. 1. Ceny rozważanego leku w wersji bez RSS	8
Tab. 2. Ceny rozważanego leku w wersji uwzględniającej RSS	8
Tab. 3. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) – dane z ankiet	12
Tab. 4. Podsumowanie szacunków rocznej wielkości populacji	13
Tab. 5. Opis poszczególnych stanów zdrowia występujących w modelu	15
Tab. 6. Względne ryzyko poprawy i pogorszenia klasy WHO FC	16
Tab. 7. Dane kliniczne – początkowa dystrybucja pacjentów i prawdopodobieństwo przejść pomiędzy poszczególnymi stanami modelu	17
Tab. 8. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej z rozbiem na terapię dwu- i trzylekową	19
Tab. 9. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej wśród pacjentów z populacji docelowej uwzględnionej w niniejszej analizie	20
Tab. 10. Średnia cena za 1 mg leków uwzględnionych w ramach terapii podstawowej	21
Tab. 11. Dane dotyczące dawkowania poszczególnych leków uwzględnione w analizie	23
Tab. 12. Koszt jednostkowy świadczeń związanych z podaniem leków	25
Tab. 13. Koszt całkowity hospitalizacji związany z podaniem leków	25
Tab. 14. Koszt jednostkowy świadczeń w ramach standardowej opieki	27
Tab. 15. Roczny koszt świadczeń w ramach standardowej opieki	27
Tab. 16. Roczny koszt standardowej opieki z podziałem na klasy WHO FC	28
Tab. 17. Koszt hospitalizacji i przeszczepu płuca	28
Tab. 18. Waga punktowa/taryfa opieki terminalnej	29
Tab. 19. Cena punktu rozliczeniowego – opieka terminalna	29
Tab. 20. Koszt opieki terminalnej	30
Tab. 21. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) w wariancie minimalnym – dane z ankiet	30
Tab. 22. Liczba pacjentów, którzy będą otrzymywać sotatercept (przy hipotetycznej dostępności sotaterceptu) w wariancie maksymalnym – dane z ankiet	31
Tab. 23. Założenia analizy wrażliwości i wariantu podstawowego – wielkość populacji uwzględnionej w niniejszej analizie	32
Tab. 24. Zestawienie danych wykorzystanych w niniejszej analizie	33
Tab. 25. Struktura stosowania poszczególnych leków w ramach terapii podstawowej wśród pacjentów po niepowodzeniu leczenia	37
Tab. 26. Aktualne roczne wydatki NFZ	38
Tab. 27. Zestawienie wyników analizy dla wariantu podstawowego	39
Tab. 28. Zestawienie wyników analizy dla wariantu minimalnego	40

Tab. 29. Zestawienie wyników analizy dla wariantu maksymalnego	41
Tab. 30. Zestawienie wyników całkowitych kosztów inkrementalnych wszystkich wariantów niniejszej analizy	43
Tab. 31. 	49
Tab. 32. 	50
Tab. 33. 	51
Tab. 34. 	52
Tab. 35. 	53
Tab. 36. 	54

Bibliografia

- 10/2025/D SOZ** Zarządzenie Nr 10/2025/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 03.02.2025 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie.
- 100/2024 ZLC** Zlecenia MZ 2024. dokonania analizy oraz przygotowania raportu w sprawie zmiany sposobu lub poziomu finansowania świadczeń opieki zdrowotnej i wydania rekomendacji, w związku ze wzrostem najniższego wynagrodzenia wprowadzanym ustawą z dnia 26 maja 2022 r. o zmianie ustawy o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych oraz niektórych innych ustaw (Dz. U. z 2022 r., poz. 1352).
- 120/2024/DSOZ** ZARZĄDZENIE NR 120/2024/DSOZ PREZESA NARODOWEGO FUNDUSZU ZDROWIA z dnia 17 grudnia 2024 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne.
https://baw.nfz.gov.pl/NFZ/document/43431/Zarzadzenie-120_2024_DSOZ, dostęp: 29.04.2025
- 29/2025/DGL** Zarządzenie nr 29/2025/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 24.04.2025 zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowe
- 37/2024/D SOZ** Zarządzenie nr 37/2024/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29.03.2024 w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne oraz leczenie szpitalne - świadczenia wysokospecjalistyczne.
<https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/zarzadzenia-prezesa-nfz/zarzadzenie-nr-372024dsoz,7763.html>
- 54/2024/DSOZ** Zarządzenie nr 54/2024/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29.05.2024 w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju opieka paliatywna i hopycyjna. <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/zarzadzenia-prezesa-nfz/zarzadzenie-nr-542024dsoz,7775.html>
- AE Sotatercept 2025** [REDACTED] Winrevair® (sotatercept) w skojarzeniu z innymi terapiami stosowanymi w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego. Analiza ekonomiczna 2024.
- AE Uptravi** Uprtravi® (seleksypag) stosowany w terapii skojarzonej z inhibitorem PDE-5i oraz antagonistą receptorów endoteliny w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego - analiza ekonomiczna. Kraków, 2019
https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/278/AW/Uptravi_CUA_17.12.2019_czarna.pdf, dostęp: 13.09.2024
- AOTMiT 2016** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Wersja 3.0, Warszawa. sierpień 2016
- APD Sotatercept 2025** [REDACTED] Winrevair® (sotatercept) w skojarzeniu z innymi terapiami stosowanymi w leczeniu tętniczego nadciśnienia płucnego. Analiza problemu decyzyjnego 2024.
- AWA Uptravi** Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Wydział Oceny Technologii Medycznych. Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktów leczniczych Uptravi (seleksypag) w ramach programu lekowego „Leczenie tętniczego nadciśnienia płucnego (TNP) (ICD-10 I27, I27.0)”. Analiza Weryfikacyjna.
[https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/278/AWA/OT.4331.63.2019_Uptravi_\[seleksypag\]_TNP_KD_KW_AS_MM_BIP.pdf](https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2019/278/AWA/OT.4331.63.2019_Uptravi_[seleksypag]_TNP_KD_KW_AS_MM_BIP.pdf)
- CADTH Seleksypag** Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Reimbursement Reviews: Selexipag. Accessed June 3, 2022. <https://www.cadth.ca/selexipag>

ChPL Adempas	https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/adempas-epar-product-information_pl.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Flolan	http://chpl.com.pl/data_files/ecalta.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Opsumit	https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/opsumit-epar-product-information_pl.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Remodulin	http://chpl.com.pl/data_files/2013-01-04_pl-spc-1mg-updates_sep12-var017+022g-from_agency_5nov12.pdf , ostatni dostęp: 07.05.2025
ChPL Reviato	https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/opdivo-epar-product-information_pl.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Trecleer	https://www.ema.europa.eu/pl/documents/procedural-steps/tracleer-epar-procedural-steps-taken-authorisation_pl.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Uptravi	https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2016/20160512134249/anx_134249_pl.pdf , ostatni dostęp: 07.05.2025
ChPL Ventavis	https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/ventavis-epar-product-information_en.pdf , Ostatni dostęp: 17.12.2024.
ChPL Winrevair	https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/Winrevair®-epar-product-information_pl.pdf , dostęp 14.11.2024
ESC/ERS 2022	Humbert M, Kovacs G, Hoeper MM, et al. 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. Eur Heart J. Oct 11 2022;43(38):3618-3731. doi:10.1093/eurheartj/ehac237
ESC/ERS 2022	Humbert M, Kovacs G, Hoeper MM, et al. 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. Eur Heart J. Oct 11 2022;43(38):3618-3731. doi:10.1093/eurheartj/ehac237
Exposto 2021	Exposto F., Hermans R., Nordgren A., Taylor L., Rehman S.S., Ogley R., Davies E., Yesufu-Udechuku A., Beaudet A. Burden of pulmonary arterial hypertension in England: retrospective HES database analysis. Ther Adv Respir Dis. 2021;15:1753466621995040.
Hoeper 2023	Hoeper M. M., Badesch D. B., Ghofrani H. A., Gibbs J. S. R. i in., Phase 3 Trial of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension, New England journal of medicine, 388 (16): 1478-1490, 2023.
Humbert 2023	Humbert M., Sitbon O., Guignabert C., et al. Treatment of pulmonary arterial hypertension: recent progress and a look to the future. Lancet Respir Med. 2023;11(9):804-819.
Komunikat DGL	Komunikat DGL z 26/03/2025. Komunikat dotyczący średniego kosztu rozliczenia wybranych substancji czynnych stosowanych w programach lekowych i chemioterapii za okres od stycznia 2018 r. do stycznia 2025 r. https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/komunikat-dgl,8751.html , dostęp: 22.04.2025
Kopeć 2020	Kopeć, G., Kurzyna, M., Mroczek, et al.. (2020). Characterization of patients with pulmonary arterial hypertension: data from the Polish Registry of Pulmonary Hypertension (BNP-PL). Journal of clinical medicine, 9(1), 173.
NFZ IOU	NFZ. Wyszukiwanie świadczeń - Informator o umowach. https://aplikacje.nfz.gov.pl/umowy
Pizzicato 2022	Pizzicato LN, Nadipelli VR, Governor S, et al. Real-world treatment patterns, healthcare resource utilization, and cost among adults with pulmonary arterial hypertension in the United States. Pulmonary Circulation. 2022;12(2):e12090.
Raport refundacyjny 2025	Raport refundacyjny dotyczący wielkości kwoty refundacji i pozostałych parametrów określonych w ustawie leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych za styczeń - grudzień 2024

- roku. <https://www.nfz.gov.pl/aktualnosci/aktualnosci-centrali/5,strona.html>,
dostęp: 22.04.2025
- Rozporządzenie
MZ 2023** Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 24 października 2023 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu, o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu technologii lekowej o wysokiej wartości klinicznej oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika
- Uchwała
Rady NFZ** Uchwała Rady NFZ. Uchwała Nr 6/2025/IV w sprawie przyjęcia okresowego Sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2024 r. <https://www.nfz.gov.pl/zarzadzenia-prezesa/uchwaly-rady-nfz/uchwala-nr-62025iv,6694.html>, dostęp: 22.04.2024
- Waligóra
2023** Waligóra M. Epidemiologia TNP w Bazie BNP-PL. Epidemiologia nadciśnienia płucnego w Polsce. Ogólnopolska baza Danych Nadciśnienia Płucnego BNP-PL. Edycja 2023. <https://skp.ptkardio.pl/baza-bnp-pl/>, dostęp: 03.01.2025
- Zozaya
2022** Zozaya, N., et al. (2022). The economic burden of pulmonary arterial hypertension in Spain. BMC pulmonary medicine, 22(1), 105.