



IGNORANTIA NOCET

# Preparat PKU Gel<sup>®</sup> (środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego) w fenyloketonurii

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia

Wersja 1.0

**Wykonawca:**

MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Rejtana 17/5  
02 - 516 Warszawa  
Tel. 22 542 41 54  
E-mail: [biuro@mahta.pl](mailto:biuro@mahta.pl)

**Przygotowano dla:**

Nestle Polska S.A.

Warszawa, 6 maja 2016

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> <li>⊗ Wnioski końcowe</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Ocena kosztów;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy</li> <li>⊗ Wnioski końcowe</li> </ul>

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Nestle Polska S.A., która finansowała pracę.  
Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>5</b>
<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....</b>	<b>12</b>
<b>2. Analiza wpływu na budżet .....</b>	<b>12</b>
2.1. Metodyka analizy .....	12
2.2. Horyzont czasowy.....	14
2.3. Perspektywa .....	14
2.4. Scenariusze porównywane .....	14
2.5. Populacja .....	18
2.5.1. Populacja docelowa, wskazana we wniosku.....	18
2.5.2. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....	22
2.5.3. Populacja, w której dieta eliminacyjna PKU Gel <sup>®</sup> jest obecnie stosowana .....	22
[REDACTED]	
[REDACTED]	
[REDACTED]	
2.6. Parametry uwzględnione w analizie .....	24
2.6.1. Dawkowanie .....	25
2.6.2. Udziały w rynku diet eliminacyjnych w poszczególnych przedziałach wiekowych	38
2.6.3. Koszty diet eliminacyjnych.....	108
2.7. Aktualne wydatki budżetowe .....	114
2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy .....	155
2.8.1. Perspektywa wspólna .....	155
2.8.2. Perspektywa płatnika publicznego.....	156
2.9. Wydatki budżetowe na wnioskowane technologie medyczne.....	158
2.9.1. Perspektywa wspólna .....	158
2.9.2. Perspektywa płatnika publicznego.....	160

---

2.10. Wyniki analizy wpływu na budżet .....	161
2.10.1. Perspektywa wspólna .....	162
2.10.2. Perspektywa płatnika publicznego .....	164
2.11. Podsumowanie danych wejściowych .....	166
<b>3. Analiza wrażliwości .....</b>	<b>168</b>
<b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych .....</b>	<b>173</b>
<b>5. Uzasadnienie [REDACTED] .....</b>	<b>173</b>
<b>6. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>174</b>
<b>7. Założenia i ograniczenia .....</b>	<b>176</b>
<b>8. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>	<b>181</b>
<b>9. Załączniki .....</b>	<b>183</b>
9.1. Dane refundacyjne NFZ .....	183
9.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w <i>Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	192
9.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej .....	194
9.4. Dopasowania linii trendu .....	194
<b>10. Spis tabel .....</b>	<b>195</b>
<b>11. Spis rysunków .....</b>	<b>198</b>
<b>12. Bibliografia.....</b>	<b>199</b>

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTMIT	Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
CH	cena hurtowa
GUS	Główny Urząd Statystyczny
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
Phe	ang. <i>phenylalanine</i> – fenyloalanina
PKU	ang. <i>phenylketonuria</i> – fenyloketonuria
■	■
UCZ	urzędowa cena zbytu

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w Polsce diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> w fenyloketonurii u dzieci w wieku 6 miesięcy – 10 lat, finansowanej w ramach *Wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* [redacted]. Analiza dotyczy 3 dostępnych wersji smakowych diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup>: neutralnej, pomarańczowej i malinowej. Preparat PKU Gel<sup>®</sup> dostępny jest w formie sproszkowanej, w opakowaniach zawierających 30 saszetek po 24 g produktu (w tym 10 g białka w każdej saszetce), który można spożywać w postaci żelu (zawartość saszetki rozpuszczana w 30 ml wody) lub niskoobjętościowego płynu (zawartość saszetki rozpuszczana w 80 ml wody).

Obecnie refundowane diety w przeciwieństwie do PKU Gel<sup>®</sup> należą do produktów wysokoobjętościowych, w związku z czym rodzice chorych dzieci oraz ich lekarze zwracają uwagę na istotny problem, jakim jest trudność dziecka w skonsumowaniu pełnego produktu i tym samym przyjęcie pełnej zalecanej dobowej dawki białka. Jak podkreślają lekarze, przyjmowanie niepełnej dawki białka może prowadzić do wzrostu stężenia Phe we krwi chorych, a to z kolei może skutkować nieodwracalnymi powikłaniami neurologicznymi.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

### METODYKA

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (płatnik publiczny) oraz z perspektywy wspólnej (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy). Przyjęto dwuletni horyzont czasowy, obejmujący okres od początku stycznia 2017 do końca grudnia 2018 roku (dalej okres stycznia 2017 do końca grudnia 2017 roku określano jako I rok horyzontu czasowego, okres od stycznia 2018 do końca grudnia 2018 roku jako II rok horyzontu analizy).

Populację docelową dla diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> stanowią dzieci chore na fenyloketonurię w wieku od 6 miesiąca do 10 roku życia. [redacted]

---

[REDACTED]

W analizie uwzględniono dwa scenariusze: istniejący i nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację, w której PKU Gel<sup>®</sup> nie jest refundowany w omawianym wskazaniu. W scenariuszu nowym przyjęto, że PKU Gel<sup>®</sup> będzie refundowany w omawianym wskazaniu, podobnie jak pozostałe refundowane diety eliminacyjne stosowane w PKU i zostanie umieszczony w *Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, regulowanym *Obwieszczeniem Ministra Zdrowia w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, [REDACTED]

[REDACTED]

W ramach niniejszej analizy uwzględniono fakt, że środek spożywczy PKU Gel<sup>®</sup> dostępny jest w 3 wersjach smakowych: neutralny (zgodnie z *Opisem środka spożywczego PKU Gel<sup>®</sup>* może być przyjmowany w wieku od 6 miesiąca do 10 roku życia), pomarańczowy (zgodnie z *Opisem środka spożywczego PKU Gel<sup>®</sup>* może być przyjmowany w wieku od 1 roku do 10 roku życia) i malinowy (zgodnie z *Opisem środka spożywczego PKU Gel<sup>®</sup>* może być przyjmowany w wieku od 1 roku do 10 roku życia). Preparat PKU Gel<sup>®</sup> dostępny jest w formie sproszkowanej, w opakowaniach zawierających 30 saszetek po 24 g produktu (w tym 10 g białka w każdej saszetce), który można spożywać w postaci żelu (zawartość saszetki rozpuszczana w 30 ml wody) lub niskoobjętościowego płynu (zawartość saszetki rozpuszczana w 80 ml wody).

[REDACTED]

Całkowite koszty terapii w populacji docelowej wyznaczono na podstawie kosztów diet eliminacyjnych przy uwzględnieniu dziennego zapotrzebowania na białko w poszczególnych przedziałach wiekowych dla osób chorych na PKU (*Senddecka 2011*).

[REDACTED]

[REDACTED] natomiast ceny pozostałych diet eliminacyjnych stosowanych w PKU wyznaczono na podstawie aktualnego *Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywniowego oraz wyrobów medycznych* (Dz. Urz. Min. Zdrow. 2016.48).

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wydatki płatnika publicznego oraz wydatki z perspektywy wspólnej określono w sytuacji braku finansowania technologii wnioskowanej ze środków publicznych w uwzględnianym wskazaniu, to jest w przypadku utrzymania obecnej sytuacji na rynku (scenariusz istniejący), a także po uwzględnieniu zakładanego sposobu refundowania technologii wnioskowanej (scenariusz nowy). Finalnie wyznaczono inkrementalne wydatki z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej, czyli różnicę pomiędzy scenariuszem prognozowanym (nowym) a scenariuszem istniejącym. Dla każdego ze scenariuszy rozpatrzono 3 alternatywne warianty: najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



## WYNIKI

[Redacted content]

### Wydatki inkrementalne

[Redacted content]

[Redacted content]

## PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W niniejszej pracy oceniono wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o zakwalifikowaniu diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> do finansowania ze środków publicznych w ramach *Wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych* w kategorii dostępności refundacyjnej – lek

dostępny w aptece na receptę, [REDACTED]

Decyzja dotycząca objęcia refundacją diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> wpłynie korzystnie na wyniki leczenia chorych. Chorzy uzyskają dostęp do terapii, w wyniku której poprawi się zgodność przyjmowanej dawki białka z zalecaną przez lekarza lub dietetyka. Osiągnięta lepsza kontrola choroby wpłynie na poprawę jakości życia chorych. Obecnie refundowane diety (w przeciwieństwie do PKU Gel<sup>®</sup>) należą do produktów wysokoobjętościowych, w związku z czym rodzice chorych dzieci oraz ich lekarze zwracają uwagę na istotny problem, jakim jest trudność dziecka w skonsumowaniu pełnego produktu i tym samym przyjęcie pełnej zalecanej dobowej dawki białka. Jak podkreślają lekarze, przyjmowanie niepełnej dawki białka może prowadzić do wzrostu stężenia Phe we krwi chorych, a to z kolei może skutkować nieodwracalnymi powikłaniami neurologicznymi. Refundacja PKU Gel<sup>®</sup> stanowi zatem odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę chorych i ich rodzin w omawianym wymiarze, jakim jest poprawa zgodności przyjmowanej dawki białka z zaleceniami lekarza lub dietetyka.

Pozytywna decyzja refundacyjna dotycząca PKU Gel<sup>®</sup> sprawi, iż chorzy zyskają dostęp do środka spożywczego w formie żelu lub niskoobjętościowego płynu, w różnych smakach, w wygodnym opakowaniu, który będą mogli spożywać od 6. miesiąca do 10. roku życia. Przyjmowanie diety w formie pojedynczej porcji o niskiej objętości ze ściśle określoną dawką substytutu białka poprawi kontrolę ilości przyjmowanego preparatu przez chorych, co będzie korzystnie wpływać na stan ich zdrowia i poprawę jakości życia w stosunku do stosowania obecnie refundowanych preparatów o większej objętości. Należy zaznaczyć, że restrykcyjne przestrzeganie diety jest szczególnie ważne we wczesnych stadiach rozwojowych choroby, tj. w przypadku niemowląt i dzieci. Przerwanie lub niepełne przestrzeganie zaleceń może prowadzić do nieodwracalnych zaburzenia neurologicznych.

Refundacja PKU Gel<sup>®</sup> zmniejszy liczbę pomyłek w ilości przyjętego substytutu białka i pozwoli na ograniczenie zjawiska marnowania resztek produktu, co ma miejsce w przypadku obecnie refundowanych opakowań diet eliminacyjnych w postaci puszek.

[REDACTED]

---

[Redacted text block]

[Redacted text block]

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji refundacyjnej dla diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> stosowanej w fenyloketonurii. Środek spożywczy PKU Gel<sup>®</sup> nie jest obecnie finansowany ze środków publicznych. W przypadku pozytywnej decyzji refundacyjnej zasadnym byłoby umieszczenie go w *Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (część A2 – Środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym)*, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> w przedstawionym wskazaniu.

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego wykonanego w programie MS Excel 2010, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń.

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

1. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

- 
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
2. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji docelowej w kolejnych latach horyzontu czasowego, począwszy od stycznia 2017 roku.
  3. Oszacowano rozpowszechnienie technologii medycznych stosowanych w populacji docelowej oraz przeprowadzono prognozę rozpowszechnienia interwencji po podjęciu pozytywnej decyzji refundacyjnej dla tej interwencji.
  4. Oszacowano koszty terapii technologii wnioskowanej oraz pozostałych opcji terapeutycznych.
  5. Obliczono przewidywane wydatki z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej w populacji docelowej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza istniejącego, czyli w przypadku braku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
  6. Obliczono przewidywane wydatki z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej w horyzoncie czasowym analizy dla scenariusza nowego, czyli w przypadku podjęcia przez płatnika pozytywnej decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych.
  7. Obliczono wydatki inkrementalne, czyli różnicę między wydatkami w scenariuszu nowym a wydatkami w scenariuszu istniejącym. W tym przypadku wydatki inkrementalne przyjmują wartości wyższe od zera, co oznacza dodatkowe obciążenia finansowe związane z podjęciem pozytywnej decyzji refundacyjnej.
  8. W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrążeń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).
  9. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla kluczowych parametrów uwzględnianych w niniejszej analizie.
-

## 2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) [2]* oraz *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 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 (zwanym dalej *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*) [51]*, horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy (zgodnie z *Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, dalej zwaną *Ustawą o refundacji*) [54]*, pierwsza decyzja refundacyjna wydawana jest na 2 lata), obejmujący okres od początku stycznia 2017 do końca grudnia 2018 roku.

## 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań [51]*, dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy wpływu na budżet, analiza została przeprowadzona w dwóch wariantach:

- ⊕ z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (zgodnie z art. 14 *Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych [55]* płatnikiem publicznym jest Narodowy Fundusz Zdrowia lub właściwi ministrowie – Minister Zdrowia)
- ⊕ oraz dodatkowo z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta).

## 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana nie jest refundowana

w omawianym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego (na podstawie *Obwieszczenia Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2016 w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, zwanego dalej *Obwieszczeniem MZ w sprawie wykazu leków refundowanych* [28]). W scenariuszu tym w populacji docelowej refundowane są następujące diety eliminacyjne:

- ⊕ Easiphen<sup>®</sup> o smaku owoców leśnych, płyn doustny, 4500 ml (18 pojemników po 250 ml);
- ⊕ Lophlex<sup>®</sup> o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 834 g (30 saszetek po 27,8 g);
- ⊕ Lophlex<sup>®</sup> o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 834 g (30 saszetek po 27,8 g);
- ⊕ Lophlex<sup>®</sup> o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 834 g (30 saszetek po 27,8 g);
- ⊕ PKU Anamix<sup>®</sup> junior (o smaku czekoladowym), proszek, 1080 g (30 saszetek po 36 g);
- ⊕ PKU Anamix<sup>®</sup> junior (o smaku neutralnym), proszek, 1080 g (30 saszetek po 36 g);
- ⊕ PKU Anamix<sup>®</sup> junior (o smaku owoców leśnych), proszek, 1080 g (30 saszetek po 36 g);
- ⊕ PKU Anamix<sup>®</sup> junior (o smaku pomarańczowym), proszek, 1080 g (30 saszetek po 36 g);
- ⊕ PKU Anamix<sup>®</sup> junior (o smaku waniliowym), proszek, 1080 g (30 saszetek po 36 g);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml (30 torebek po 87 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml (30 torebek po 87 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml (30 torebek po 87 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml (30 torebek po 87 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml (30 torebek po 130 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml (30 torebek po 130 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml (30 torebek po 130 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml (30 torebek po 130 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml (30 torebek po 174 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml (30 torebek po 174 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml (30 torebek po 174 ml);
- ⊕ PKU Cooler<sup>®</sup> 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml (30 torebek po 174 ml);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g (30 saszetek po 25 g);

- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g (30 saszetek po 25 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g (30 saszetek po 25 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g (30 saszetek po 25 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g (30 saszetek po 34 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g (30 saszetek po 34 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g (30 saszetek po 34 g);
- ⊕ PKU Express<sup>®</sup> 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g (30 saszetek po 34 g);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Berries), płyn doustny, 3750 ml (30 x 125 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Berries), płyn doustny, 3750 ml (60 x 62,5 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Citrus), płyn doustny, 3750 ml (30 x 125 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Citrus), płyn doustny, 3750 ml (60 x 62,5 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Orange), płyn doustny, 3750 ml (30 x 125 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Orange), płyn doustny, 3750 ml (60 x 62,5 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Tropical), płyn doustny, 3750 ml (30 x 125 ml);
- ⊕ PKU Lophlex<sup>®</sup> LQ (Tropical), płyn doustny, 3750 ml (60 x 62,5 ml);
- ⊕ Phenyl-Free<sup>®</sup> 1, proszek do sporządzania roztworu, 454 g;
- ⊕ Phenyl-Free<sup>®</sup> 2, proszek do sporządzania roztworu, 454 g;
- ⊕ Phenyl-Free<sup>®</sup> 2HP, proszek do sporządzania roztworu, 454 g;
- ⊕ XP Analog<sup>®</sup> LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego, 400 g;
- ⊕ XP Maxamum<sup>®</sup> o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, 1500 g (30 saszetek po 50 g);
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 1, proszek, 500 g;
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 1 Mix, proszek, 450 g;
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Mix, proszek, 400 g;
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Prima, proszek, 500 g;
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Secunda, proszek, 500 g;
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Shake shoco, proszek, 500 g (10 saszetek po 50 g)
- ⊕ Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Shake truskawkowy, proszek, 500 g (10 saszetek po 50 g).



Poziom odpłatności w przypadku wszystkich finansowanych diet eliminacyjnych w scenariuszu istniejącym to ryczałt.

W scenariuszu nowym analizowano sytuację, w której środek spożywczy PKU Gel<sup>®</sup> umieszczony został w *Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (część A2 – Środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym)*,

W ramach scenariusza nowego uwzględniono refundację wszystkich diet eliminacyjnych wymienionych w scenariuszu istniejącym oraz dodatkowo:

- ⊕ PKU Gel<sup>®</sup> o smaku neutralnym, proszek, 720 g (30 saszetek po 24 g);
- ⊕ PKU Gel<sup>®</sup> o smaku pomarańczowym, proszek, 720 g (30 saszetek po 24 g);
- ⊕ PKU Gel<sup>®</sup> o smaku malinowym, proszek, 720 g (30 saszetek po 24 g).

Dla każdego ze scenariuszy przyjęto 3 możliwe warianty, zależne od szacowanej na kolejne lata wielkości populacji docelowej. Wpływ na budżet płatnika został wyznaczony jako różnica pomiędzy poszczególnymi wariantami rozpatrywanych scenariuszy.

## 2.5. Populacja

Zgodnie z *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań* [51] oszacowano roczną liczebność populacji:

- ⊕ obejmującej wszystkich pacjentów, u których dieta PKU Gel<sup>®</sup> może być stosowana;
- ⊕ docelowej, wskazanej we wniosku;
- ⊕ w której dieta PKU Gel<sup>®</sup> jest obecnie stosowana;
- ⊕ w której dieta PKU Gel<sup>®</sup> będzie stosowana w przypadku pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji.

### 2.5.1. Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Populację docelową dla diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> stanowią dzieci chore na fenyloketonurię w wieku od 6 miesięcy do 10 lat.

Fenyloketonuria to choroba wrodzona, uwarunkowana genetycznie, polegająca na gromadzeniu się w osoczu aminokwasu – fenyloalaniny (Phe). U podłoża tego zjawiska leży mutacja genu PAH odpowiedzialnego za działanie enzymu hydroksylazy fenyloalaninowej,

która bierze udział w przekształceniu fenyloalaniny w tyrozynę. Nieleczenie PKU powoduje zwiększenie stężenia Phe w organizmie, które może doprowadzić do poważnego uszkodzenia mózgu i innych problemów zdrowotnych [22].

PKU należy do grupy chorób rzadkich (w Europie choroba uznawana jest za rzadką, w przypadku gdy jej zapadalność wynosi do 5 chorych na 10 000 osób) [22]. Przypadki fenyloketonurii notuje się we wszystkich rasach, jednak obserwuje się zróżnicowanie zapadalności w obrębie poszczególnych grup etnicznych. Odmienna skala rozpowszechnienia tej choroby może być spowodowana (oprócz różnic etnicznych) także przyjęciem niejednorodnych kryteriów uznania danej osoby za chorą na PKU oraz metod analitycznych szacowania populacji chorych. Częstość występowania PKU nie jest uzależniona od płci [23]. Poza tym, u osób, u których rozpoznano chorobę we wczesnym okresie życia i natychmiast rozpoczęto skuteczną terapię, oczekiwana długość życia prawdopodobnie będzie taka sama, jak w populacji ogólnej [27].

W Europie zapadalność na PKU wynosi ok. 1:10 000, przy czym np. w Turcji notuje się 1 przypadek na ok. 2 600 osób, a w Finlandii 1 na 100 000 mieszkańców [23]. W Polsce zapadalność na PKU wynosi 1:7 000-8 000 żywych urodzeń [21]. Oznacza to, że w Polsce rocznie rodzi się ok. 50 osób chorych na PKU.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

### 2.5.2. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Zgodnie z *Opisem środka spożywczego PKU Gel<sup>®</sup>* [40] populację obejmującą wszystkich pacjentów, u których dieta eliminacyjna PKU Gel<sup>®</sup> może być stosowana, stanowią dzieci w wieku od 6 miesięcy do 10 roku życia. [REDACTED]

[REDACTED]

### 2.5.3. Populacja, w której dieta eliminacyjna PKU Gel<sup>®</sup> jest obecnie stosowana

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

## 2.6. Parametry uwzględnione w analizie

Do czynników mających wpływ na wyniki analizy należą:

- ⊕ wielkość populacji docelowej chorych;
- ⊕ wielkość populacji chorych, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji;
- ⊕ szacunkowe udziały w rynku środków spożywczych w scenariuszu istniejącym oraz nowym;
- ⊕ dawkowanie środków spożywczych w poszczególnych przedziałach wiekowych;
- ⊕ koszt diet eliminacyjnych.

W analizie wpływu na budżet w kategorii kosztów ponoszonych z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej uwzględniono koszt diet eliminacyjnych. Należy zauważyć, że na wynik końcowy, a więc na wartość wydatków inkrementalnych z perspektywy płatnika publicznego oraz z perspektywy wspólnej, wpływ mają wyłącznie koszty różniące scenariusz nowy i scenariusz istniejący.



Całkowite koszty środków spożywczych będą się różniły pomiędzy scenariuszami ze względu na wielkości populacji stosującej daną dietę (łącznie wielkość populacji leczonej przy pomocy diet eliminacyjnych jest taka sama, różne są udziały w rynku poszczególnych technologii medycznych, bowiem w scenariuszu nowym pojawia się nowa refundowana dieta eliminacyjna PKU Gel<sup>®</sup>). [REDACTED]

Populację docelową oraz populację chorych, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji, omówiono we wcześniejszym rozdziale (Rozdział 2.5.), natomiast koszty związane z terapią w populacji docelowej, dawkowanie środków spożywczych w poszczególnych przedziałach wiekowych oraz ich udziały w rynku przedstawiono w poniższych rozdziałach.

### 2.6.1. Dawkowanie

W analizie wpływu na system ochrony zdrowia oszacowano liczby dobowych dawek białka w opakowaniach diet eliminacyjnych w poszczególnych przedziałach wiekowych. Wyznaczono je na podstawie zawartości białka w opakowaniach poszczególnych diet oraz średniego dziennego zapotrzebowanie na białko z preparatów białkozastępczych z uwzględnieniem wieku chorego (uwzględniono wyłącznie przedział wiekowy populacji docelowej). Wyniki zostały oszacowane w rozbiciu na mniejsze przedziały wiekowe (o długości 1 roku poza przedziałem „6 – 12 miesiąc życia”) ze względu na silne zróżnicowanie przedziałów wiekowych, w których możliwe jest stosowanie poszczególnych diet oraz znaczne zróżnicowanie dziennego zapotrzebowania na białko z produktów białkozastępczych w poszczególnych przedziałach wiekowych.

Produkty przeznaczone dla chorych w analizowanym przedziale wiekowym (6 miesięcy – 10 lat) zostały wymienione w rozdziale 2.4. w miejscu opisu preparatów stosowanych w scenariuszu istniejącym i nowym. Średnie dobowe zapotrzebowanie na białko z preparatu w analizowanym przedziale wiekowym wyznaczono na podstawie dwóch publikacji: *Cabalska 2000* [4] i *Sendecka 2001* [52]. Zgodnie z publikacją *Cabalska 2000* [4] ok. 85% zapotrzebowania na białko pochodzi z preparatów białkozastępczych. Zgodnie z publikacją *Sendecka 2001* [52] średnie dzienne zapotrzebowanie na białko chorych na PKU różni się

---

w poszczególnych przedziałach wiekowych, a wartości te przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 3.).

---

**Tabela 3.**  
**Średnie dzienne zapotrzebowanie na białko dla osób chorych na PKU<sup>1</sup>**

Wiek	Dzienne zapotrzebowanie na białko dla chorego na PKU (g)	Dzienne zapotrzebowanie na białko dla chorego na PKU (g) z preparatów białkozastępczych
0-12 miesięcy	22,53	19,15
6-12 miesięcy	27,22	23,14
1-3 lata	25	21,25
4-6 lat	32,5	27,63
7-9 lat	37,5	31,88
10-12 lat	47,5	40,38
powyżej 12 lat	50	42,50

Zawartość białka w opakowaniu poszczególnych diet oszacowano na podstawie opisów tychże środków spożywczych [29, 30, 31, 32, 33, 34, 35, 36, 37, 38, 39, 40, 41, 42, 43, 44, 45, 46, 47, 48, 49, 50], a uzyskane wyniki przedstawiono w poniższej tabeli (Tabela 4.).

<sup>1</sup> W przypadku przedziałów wiekowych: 1-3 lata, 4-6 lat, 7-9 lat, 10-12 lat i powyżej 12 lat w kolumnie „dzienne zapotrzebowanie na białko dla chorego na PKU” wpisano uśrednione wartości dla przedziałów podanych w publikacji *Sendecka 2001* [52]; w przypadku przedziałów wiekowych: 0-12 miesięcy oraz 6-12 miesięcy w publikacji *Sendecka 2001* [52] podano wartości zapotrzebowania na białko na kg masy ciała, w związku z czym dokonano szacunków średniej masy ciała dzieci w tych przedziałach wiekowych na podstawie norm Światowej Organizacji Zdrowia [53] i przemnożono je przez wartości z publikacji *Sendecka 2001* [52].

**Tabela 4.**  
**Zawartość białka w opakowaniach diet eliminacyjnych stosowanych w PKU**

Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Pojemność opakowania (g/ml)	Zawartość białka w 100 g/ml preparatu (g)	Zawartość białka w opakowaniu (g)
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny,	5016533625929	4500	6,72	302,40
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630992	834	71,94	600,00
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630978	834	71,94	600,00
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630985	834	71,94	600,00
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	4008976340294	450	31,11	140,00
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek,	5016533648225	1080	28,00	302,40
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek,	5016533648263	1080	28,00	302,40
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	1080	28,00	302,40
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	1080	28,00	302,40
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	1080	28,00	302,40
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	2610	11,49	300,00
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	2610	11,49	300,00
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	2610	11,49	300,00
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	2610	11,49	300,00
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	3900	11,54	450,00
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	3900	11,54	450,00
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	3900	11,54	450,00
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	3900	11,54	450,00
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	5220	11,49	600,00

Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Pojemność opakowania (g/ml)	Zawartość białka w 100 g/ml preparatu (g)	Zawartość białka w opakowaniu (g)
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	5220	11,49	600,00
PKU Cooler 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051530	5220	11,49	600,00
PKU Cooler 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051684	5220	11,49	600,00
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051745	750	60,00	450,00
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051585	750	60,00	450,00
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051752	750	60,00	450,00
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051738	750	60,00	450,00
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051776	1020	58,82	600,00
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051639	1020	58,82	600,00
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051783	1020	58,82	600,00
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051769	1020	58,82	600,00
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 125 ml	5016533647686	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647693	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 125 ml	5016533647747	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	3750	16,00	600,00
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	3750	16,00	600,00
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	454	16,20	73,55
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	454	22,00	99,88

Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Pojemność opakowania (g/ml)	Zawartość białka w 100 g/ml preparatu (g)	Zawartość białka w opakowaniu (g)
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	454	40,00	181,60
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	400	13,00	52,00
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	1500	39,00	585,00
Milupa pku 1, proszek,	5016533644418	500	50,00	250,00
Milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	450	9,80	44,10
Milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	400	26,67	106,67
Milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	500	60,00	300,00
Milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	500	70,00	350,00
Milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	500	28,00	140,00
Milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	500	28,00	140,00
Milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	600 tabl.		210,00
Milupa pku 3 advanta, proszek,	5016533644449	500	70,00	350,00
<i>PKU Gel o smaku neutralnym</i>		720	41,67	300,00
<i>PKU Gel o smaku pomarańczowym</i>		720	41,67	300,00
<i>PKU Gel o smaku malinowym</i>		720	41,67	300,00

---

Liczbę dobowych dawek białka w poszczególnych opakowaniach diet eliminacyjnych przedstawiono natomiast w kolejnej tabeli (Tabela 5.).

---

**Tabela 5.**

**Liczba dobowych dawek białka w poszczególnych opakowaniach diet eliminacyjnych stosowanych w PKU w kolejnych przedziałach wiekowych<sup>2</sup>**

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny,	5016533625929	0	0	0	0	0	0	0	0	9	9
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630992	0	0	0	0	0	0	0	0	19	19
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630978	0	0	0	0	0	0	0	0	19	19
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630985	0	0	0	0	0	0	0	0	19	19
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	4008976340294	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek,	5016533648225	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9

<sup>2</sup> W tabeli przedstawiono wszystkie refundowane diety eliminacyjne stosowane w fenyloketonurii. Jeżeli w danej komórce widnieje wartość 0 na jasnozielonym tle, oznacza to, że dana dieta nie jest stosowana w danym przedziale wiekowym; zgodnie z danymi dostarczonymi przez Zamawiającego [6] PKU Gel® o smaku neutralnym może być przyjmowany w wieku od 6 miesiąca do 10 roku życia, natomiast PKU Gel® o smaku owocowym (malinowym lub pomarańczowym) może być przyjmowany w wieku od 1 do 10 roku życia.



Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek,	5016533648263	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	0	0	0	14	11	11	11	9	9	9
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	0	0	0	14	11	11	11	9	9	9
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	0	0	0	14	11	11	11	9	9	9
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	0	0	0	14	11	11	11	9	9	9
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Cooler 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051530	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Cooler 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051684	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051745	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051585	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051752	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051738	0	0	0	21	16	16	16	14	14	14
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051776	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051639	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051783	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051769	0	0	0	28	22	22	22	19	19	19

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 125 ml	5016533647686	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647693	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 125 ml	5016533647747	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	0	0	0	0	22	22	22	19	19	19
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	3	3	0	0	0	0	0	0	0	0
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	0	5	5	5	4	4	4	3	3	3
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	0	9	9	9	7	7	7	6	6	6
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	2	2	2	0	0	0	0	0	0	0

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	0	0	0	0	0	0	0	0	18	18
Milupa pku 1, proszek,	5016533644418	11	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	2	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	0	5	5	5	4	4	4	3	3	3
Milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	0	14	14	14	11	11	11	9	9	9
Milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	0	0	0	0	0	0	0	0	11	11
Milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	0	0	0	0	0	0	0	0	4	4
Milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	0	0	0	0	0	0	0	0	4	4
Milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Milupa pku 3 advanta, proszek,	5016533644449	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
<i>PKU Gel o smaku neutralnym</i>		13	14	14	14	11	11	11	9	9	9
<i>PKU Gel o smaku pomarańczowym</i>		0	14	14	14	11	11	11	9	9	9

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Przedział wiekowy									
		<6-12 mies.)	<1-2 lata)	<2-3 lata)	<3-4 lata)	<4-5 lat)	<5-6 lat)	<6-7 lat)	<7-8 lat)	<8-9 lat)	<9-10 lat)
<i>PKU Gel o smaku malinowym</i>		0	14	14	14	11	11	11	9	9	9

W rzeczywistości dawki są dobierane indywidualnie do potrzeb chorego (w zależności od indywidualnego zapotrzebowania na białko). W analizie nie ma możliwości uwzględnienia każdego chorego indywidualnie, dlatego uwzględniono uśrednione wartości zapotrzebowania oszacowane na podstawie publikacji: *Cabalska 2000* [4] i *Sendecka 2001* [52].

W jednoramiennym badaniu przedstawionym w publikacji *MacDonald 2001* (badanie włączone do *Analizy klinicznej* [24]) zaprezentowano wyniki badania przeprowadzonego na próbie 9 dzieci w wieku 1-10 lat, które przed badaniem były poddane restrykcyjnej diecie o niskiej zawartości fenyloalaniny, po czym zaczęły przyjmować PKU Gel<sup>®</sup> przez okres 8 tygodni. Objętość przyjmowanej dawki, smak oraz tekstura produktu w postaci PKU Gel<sup>®</sup> okazała się satysfakcjonująca dla większości badanych dzieci i żadne z nich nie chciało wrócić do poprzednio przyjmowanej diety. W opinii rodziców dzieci chorych na PKU zaletą PKU Gel<sup>®</sup> jest: brak konieczności odmierzania dawki produktu (PKU Gel<sup>®</sup> dostępny jest w postaci saszetek o ściśle odmierzonej zawartości białka), brak konieczności dodawania witamin i substancji mineralnych do diety dzieci (PKU Gel<sup>®</sup> zawiera w swoim składzie wszystkie potrzebne witaminy i składniki mineralne konieczne do prawidłowego wzrostu dzieci), dobrą konsystencję, akceptowalny smak, łatwość i szybkość przygotowania dawki produktu, mniejszą objętość i lepkość produktu niż innych diet eliminacyjnych.

Przyjmowanie diety w formie pojedynczej porcji ze ściśle określoną dawką białka pomaga pacjentom i opiekunom kontrolować ilość przyjmowanego preparatu, co korzystnie wpływa na przestrzeganie zaleceń lekarskich. W przypadku produktu PKU Gel<sup>®</sup>, dzięki ściśle odmierzonej dawce preparatu w pojedynczej saszetce, nie dochodzi do pomyłek w ilości przyjmowanego substytutu białka, jak również wyklucza to marnowanie reszty produktu, co ma miejsce w przypadku tradycyjnych opakowań w postaci puszek. W małej objętości produkt ten dostarcza ściśle określone dawki białka (10 g białka w saszetce). W ramach jednej saszetki dostępne są trzy warianty smakowe produktu (neutralny, malinowy i pomarańczowy), dzięki czemu możliwe jest uzupełnienie indywidualnego zapotrzebowania na białko przez wybór odpowiedniego wariantu smakowego, bez marnowania produktu.

## 2.6.2. Udziały w rynku diet eliminacyjnych w poszczególnych przedziałach wiekowych

### 2.6.2.1. Udziały w scenariuszu istniejącym

Udziały poszczególnych diet eliminacyjnych stosowanych w PKU w analizowanym przedziale wiekowym (6 miesięcy – 10 lat) zostały oszacowane w rozbiciu na mniejsze przedziały wiekowe (o długości 1 roku poza przedziałem „6 – 12 miesiąc życia”) ze względu na silne zróżnicowanie przedziałów wiekowych, w których możliwe jest stosowanie poszczególnych diet oraz znaczne zróżnicowanie dziennego zapotrzebowania na białko z produktów białkozastępczych w poszczególnych przedziałach wiekowych. Udziały poszczególnych diet eliminacyjnych stosowanych w PKU w scenariuszu istniejącym zostały oszacowane z uwzględnieniem:

- ⊕ przedziałów wiekowych, w których możliwe jest stosowanie zalecanych produktów;
- ⊕ dziennego zapotrzebowania na białko z produktów białkozastępczych w poszczególnych przedziałach wiekowych (Tabela 3. w rozdziale 2.6.1.);
- ⊕ wielkości populacji kwalifikującej się do terapii z wykorzystaniem danej diety w I i II roku refundacji;
- ⊕ wielkości populacji chorych na PKU w poszczególnych przedziałach wiekowych w I i II roku refundacji;
- ⊕ prognozy udziałów w wielkości refundacji poszczególnych diet w I i II roku refundacji.

Stosowanie produktów w odpowiednich przedziałach wiekowych określono na podstawie nazw grup limitowych z *Obwieszczenia Ministra Zdrowia w sprawie wykazu leków refundowanych* [28]. W większości przypadków w nazwach grup limitowych wymieniano przedział wiekowy chorych kwalifikujących się do terapii z wykorzystaniem diety należącej do danej grupy. W przypadku gdy nie wymieniono konkretnego wieku chorych kwalifikujących się do terapii z wykorzystaniem danej diety, za niemowlęta uznano chorych przed ukończeniem 1. roku życia, za dzieci uznano chorych od 1. do 18. roku życia, natomiast dla diety Phenyl-Free<sup>®</sup> 1, która stosowana jest u niemowląt i małych dzieci, uznano, że powinna ona być stosowana u chorych przed ukończeniem 2. roku życia (na podstawie *Treatment Guidelines: Nutrition Management of the Toddler/Young Child* [5]). Poniżej przedstawiono wszystkie diety eliminacyjne stosowane w PKU z przedziałami wiekowymi, w których mogą być stosowane (Tabela 6.).

**Tabela 6.**  
**Przedziały wiekowe kwalifikujące do terapii z wykorzystaniem diet eliminacyjnych stosowanych w PKU**

Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Zalecany wiek do stosowania diety (w ukończonych latach) zgodny z obwieszczeniem	
		Minimum	Maksimum
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny,	5016533625929	8	do końca życia
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630992	8	do końca życia
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630978	8	do końca życia
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630985	8	do końca życia
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	4008976340294	18	do końca życia
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek,	5016533648225	1	10
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek,	5016533648263	1	10
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	1	10
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	1	10
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	1	10
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	3	do końca życia
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	3	do końca życia
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	3	do końca życia
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	3	do końca życia
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	3	do końca życia
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	3	do końca życia
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	3	do końca życia
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	3	do końca życia
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	3	do końca życia
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	3	do końca życia



Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Zalecany wiek do stosowania diety (w ukończonych latach) zgodny z obwieszczeniem	
		Minimum	Maksimum
PKU Cooler 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051530	3	do końca życia
PKU Cooler 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051684	3	do końca życia
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051745	3	do końca życia
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051585	3	do końca życia
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051752	3	do końca życia
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051738	3	do końca życia
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051776	3	do końca życia
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051639	3	do końca życia
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051783	3	do końca życia
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051769	3	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 125 ml	5016533647686	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647693	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 125 ml	5016533647747	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	4	do końca życia
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	4	do końca życia
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	0	2
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	1	do końca życia
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	1	do końca życia
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	0	3

Dieta eliminacyjna	Kod EAN	Zalecany wiek do stosowania diety (w ukończonych latach) zgodny z obwieszczeniem	
		Minimum	Maksimum
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	8	do końca życia
Milupa pku 1, proszek,	5016533644418	0	1
Milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	0	1
Milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	1	18
Milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	1	18
Milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	8	do końca życia
Milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	8	do końca życia
Milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	8	do końca życia
Milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	15	do końca życia
Milupa pku 3 advanta, proszek,	5016533644449	15	do końca życia
<i>PKU Gel o smaku neutralnym</i>		0,5	10
<i>PKU Gel o smaku pomarańczowym</i>		1	10
<i>PKU Gel o smaku malinowym</i>		1	10

[Redacted text block]

[Redacted text block]

- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]
- ⊕ [Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]





[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■
[REDACTED]	[REDACTED]	■	■



[Redacted text block]





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

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]



































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

















		[Redacted]		[Redacted]		[Redacted]		[Redacted]	
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]



























---

### 2.6.2.2. Udziały w scenariuszu nowym

[Redacted text block 1]

[Redacted text block 2]

[Redacted text block 3]

[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]









































**Tabela 13.**

**Charakterystyka kosztowa diet eliminacyjnych (poza PKU Gel<sup>®</sup>) w scenariuszu istniejącym i nowym (w PLN)**

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit	Cena detaliczna brutto	Opłata wspólna	Opłata NFZ	Opłata pacjenta
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny,	5016533625929	464,49	501,65	526,73	552,40	552,40	552,40	549,20	3,20
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630992	918,62	992,11	1041,72	1080,26	1080,26	1080,26	1077,06	3,20
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630978	918,62	992,11	1041,72	1080,26	1080,26	1080,26	1077,06	3,20
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630985	918,62	992,11	1041,72	1080,26	1080,26	1080,26	1077,06	3,20
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	4008976340294	388,41	419,48	440,45	463,96	463,96	463,96	460,76	3,20
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek,	5016533648225	469,58	507,15	532,51	558,32	558,32	558,32	555,12	3,20
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek,	5016533648263	469,58	507,15	532,51	558,32	558,32	558,32	555,12	3,20
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	469,58	507,15	532,51	558,32	558,32	558,32	555,12	3,20
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	469,58	507,15	532,51	558,32	558,32	558,32	555,12	3,20
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	469,58	507,15	532,51	558,32	558,32	558,32	555,12	3,20
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	525,00	567,00	595,35	622,73	622,73	622,73	619,53	3,20
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	525,00	567,00	595,35	622,73	622,73	622,73	619,53	3,20

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit	Cena detaliczna brutto	Opłata wspólna	Opłata NFZ	Opłata pacjenta
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	525,00	567,00	595,35	622,73	622,73	622,73	619,53	3,20
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	525,00	567,00	595,35	622,73	622,73	622,73	619,53	3,20
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	787,50	850,50	893,03	927,83	927,83	927,83	924,63	3,20
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	787,50	850,50	893,03	927,83	927,83	927,83	924,63	3,20
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	787,50	850,50	893,03	927,83	927,83	927,83	924,63	3,20
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	787,50	850,50	893,03	927,83	927,83	927,83	924,63	3,20
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	1050,00	1134,00	1190,70	1232,94	1232,94	1232,94	1229,74	3,20
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	1050,00	1134,00	1190,70	1232,94	1232,94	1232,94	1229,74	3,20
PKU Cooler 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051530	1050,00	1134,00	1190,70	1232,94	1232,94	1232,94	1229,74	3,20
PKU Cooler 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051684	1050,00	1134,00	1190,70	1232,94	1232,94	1232,94	1229,74	3,20
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051745	810,00	874,80	918,54	950,59	954,00	954,00	947,39	6,61
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051585	810,00	874,80	918,54	950,59	954,00	954,00	947,39	6,61
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051752	810,00	874,80	918,54	950,59	954,00	954,00	947,39	6,61

Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit	Cena detaliczna brutto	Opłata wspólna	Opłata NFZ	Opłata pacjenta
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051738	810,00	874,80	918,54	950,59	954,00	954,00	947,39	6,61
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051776	1080,00	1166,40	1224,72	1267,84	1267,84	1267,84	1264,64	3,20
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051639	1080,00	1166,40	1224,72	1267,84	1267,84	1267,84	1264,64	3,20
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051783	1080,00	1166,40	1224,72	1267,84	1267,84	1267,84	1264,64	3,20
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051769	1080,00	1166,40	1224,72	1267,84	1267,84	1267,84	1264,64	3,20
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 125 ml	5016533647686	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647693	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 125 ml	5016533647747	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	988,75	1067,85	1121,24	1161,77	1161,77	1161,77	1158,57	3,20



Nazwa, postać i dawka leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego albo wyrobu medycznego	Kod EAN	Cena zbytu netto	Urzędowa cena zbytu	Cena hurtowa brutto	Limit	Cena detaliczna brutto	Opłata wspólna	Opłata NFZ	Opłata pacjenta
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	124,21	134,15	140,86	156,40	156,40	156,40	153,20	3,20
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	117,57	126,98	133,33	148,50	148,50	148,50	145,30	3,20
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	173,11	186,96	196,31	213,72	213,72	213,72	210,52	3,20
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	135,67	146,52	153,85	170,04	170,04	170,04	166,84	3,20
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	854,19	922,52	968,65	1005,37	1005,37	1005,37	1002,17	3,20
Milupa pku 1, proszek,	5016533644418	234,19	252,93	265,58	284,72	284,72	284,72	281,52	3,20
Milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	108,89	117,60	123,48	138,15	138,15	138,15	134,95	3,20
Milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	333,30	359,96	377,96	399,91	399,91	399,91	396,71	3,20
Milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	348,49	376,37	395,19	417,57	417,57	417,57	414,37	3,20
Milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	364,69	393,86	413,55	436,39	436,39	436,39	433,19	3,20
Milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	255,69	276,15	289,96	309,71	309,71	309,71	306,51	3,20
Milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	255,69	276,15	289,96	309,71	309,71	309,71	306,51	3,20
Milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	464,56	501,72	526,81	552,48	552,48	552,48	549,28	3,20



## 2.7. Aktualne wydatki budżetowe

Zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań* [51] oszacowano aktualne wydatki budżetowe związane z refundacją diet stosowanych w fenyloketonurii.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[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 text block consisting of seven horizontal black bars]

---









[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text]

[Redacted header text]					
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

<sup>3</sup> W obliczeniach uwzględniono dietę Minaphlex<sup>®</sup>, która nie jest obecnie refundowana, ale była refundowana w okresie do grudnia 2015 roku.

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]		-	-		-
[REDACTED]			-	-	-
[REDACTED]					
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-
[REDACTED]	-	-	-	-	-

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]		[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	
[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]





[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]



[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]





[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-



[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	-



[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]



[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]



[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]









[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]







[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	-	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	-	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	-	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	-	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	-	-
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	-	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	-	[REDACTED]	-	-

[REDACTED]	—	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]			—	—	—

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

## 2.8. Wydatki budżetowe w horyzoncie analizy

Na podstawie oszacowań: wielkości populacji docelowej chorych na fenyloketonurię w poszczególnych podprzedziałach wiekowych (Tabela 7.), kosztów diet eliminacyjnych (Tabela 13. i Tabela 14.), prognozowanej wielkości refundacji diet eliminacyjnych w kolejnych podprzedziałach wiekowych (Tabela 10. i Tabela 12.) oraz zawartości białka w opakowaniu diet eliminacyjnych (Tabela 4.) wyznaczono prognozowane wydatki związane z refundacją diet eliminacyjnych stosowanych w fenyloketonurii.

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym obejmującym okres od początku stycznia 2017 roku do końca grudnia 2018 roku, [REDACTED] w 2 możliwych scenariuszach (istniejącym lub nowym), w 2 możliwych perspektywach (płatnika publicznego lub wspólnej, tj. płatnika publicznego i pacjenta), w 3 możliwych wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

### 2.8.1. Perspektywa wspólna

#### 2.8.1.1. Scenariusz istniejący

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

### 2.8.1.2. Scenariusz nowy

[Redacted text]

[Redacted text]



[Redacted text]

[Redacted text]



### 2.8.2. Perspektywa płatnika publicznego

#### 2.8.2.1. Scenariusz istniejący

[Redacted text]

[Redacted text]

[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]

### 2.8.2.2. Scenariusz nowy

[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]



## 2.9. Wydatki budżetowe na wnioskowane technologie medyczne

Na podstawie oszacowań: wielkości populacji docelowej chorych na fenyloketonurię w poszczególnych podprzedziałach wiekowych (Tabela 7.), kosztów wnioskowanych diet eliminacyjnych (Tabela 14.), prognozowanej wielkości refundacji wnioskowanych diet eliminacyjnych w kolejnych podprzedziałach wiekowych w przypadku wydania pozytywnej decyzji o ich refundacji (Tabela 12.) oraz zawartości białka w opakowaniu wnioskowanych diet eliminacyjnych (Tabela 4.) wyznaczono prognozowane wydatki na wnioskowane technologie medyczne w przypadku wydania pozytywnej decyzji o ich refundacji.

Wyniki przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym obejmującym okres od początku stycznia 2017 roku do końca grudnia 2018 roku, [REDACTED] w 2 możliwych perspektywach (płatnika publicznego lub wspólnej, tj. płatnika publicznego i pacjenta), w 3 możliwych wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

Poniższe oszacowania to wydatki na wnioskowane technologie medyczne w scenariuszu nowym. W scenariuszu istniejącym wydatki na wnioskowane technologie medyczne w każdej z 2 możliwych perspektyw (płatnika publicznego lub wspólnej, tj. płatnika publicznego i pacjenta) oraz w każdym z 3 możliwych wariantów (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) wynoszą 0,00 PLN.

### 2.9.1. Perspektywa wspólna

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[Redacted text block]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]
------------	------------

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

### 2.9.2. Perspektywa płatnika publicznego

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[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]

## 2.10. Wyniki analizy wpływu na budżet

Na podstawie kosztów różniących w scenariuszach istniejącym i nowym wyznaczono wielkość kosztu inkrementalnego, związanego z podjęciem pozytywnej decyzji o refundacji diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup>, umieszczeniem jej w *Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (część A2 – Środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym)* [REDACTED]

Wyniki analizy przedstawiono w uwzględnianym horyzoncie czasowym obejmującym okres od początku stycznia 2017 roku do końca grudnia 2018 roku, [REDACTED] w 2 możliwych

perspektywach (płatnika publicznego lub wspólnej, tj. płatnika publicznego i pacjenta), w 3 możliwych wariantach (minimalny, prawdopodobny, maksymalny).

### 2.10.1. Perspektywa wspólna

[Redacted text]

[Redacted text]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

### 2.10.2. Perspektywa płatnika publicznego

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
------------	------------	------------

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]







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

### 3. Analiza wrażliwości

Parametry uwzględnione w analizie wrażliwości oraz zakres ich zmienności i źródła danych przedstawiono w poniższej tabeli.

[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]	

Wyniki analizy wrażliwości przedstawiono w poniższych tabelach (Tabela 45., Tabela 46., Tabela 47., Tabela 48.).







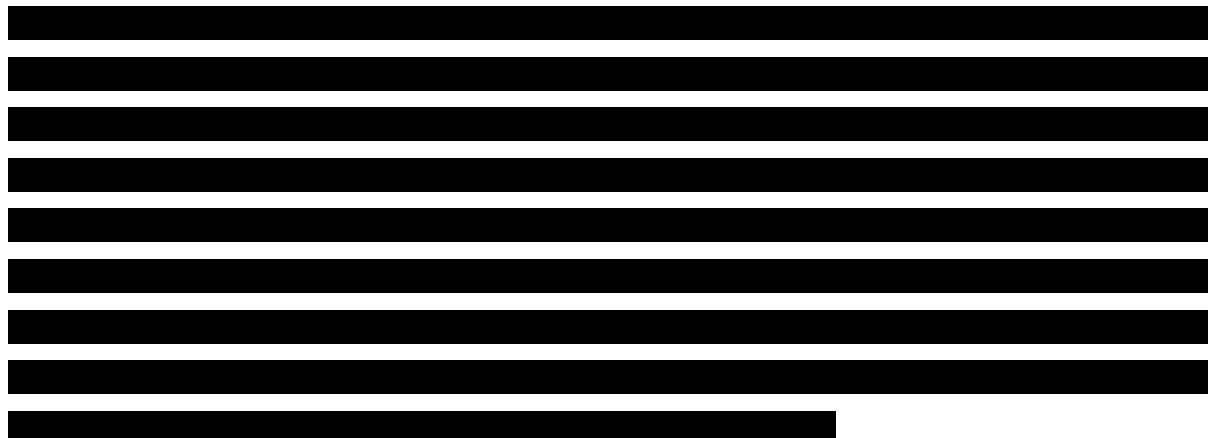
## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca refundacji diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> stosowanej w fenyloketonurii u dzieci w wieku 6 miesięcy – 10 lat i umieszczenia jej w *Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (część A2 – Środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym)* nie spowoduje nowych konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych. Obecnie w ramach *Wykazu leków refundowanych* [28] są już refundowane inne diety eliminacyjne stosowane w PKU, w związku z czym terapia z wykorzystaniem diet eliminacyjnych jest już znana lekarzom.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Uzasadnienie

[Redacted content]



## 6. Aspekty etyczne i społeczne



Decyzja dotycząca objęcia refundacją diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> wpłynie korzystnie na wyniki leczenia chorych. Chorzy uzyskają dostęp do terapii, w wyniku której poprawi się zgodność przyjmowanej dawki białka z zalecaną przez lekarza lub dietetyka. Osiągnięta lepsza kontrola choroby wpłynie na poprawę jakości życia chorych. Obecnie refundowane diety w przeciwieństwie do PKU Gel<sup>®</sup> należą do produktów wysokoobjętościowych, w związku z czym rodzice chorych dzieci oraz ich lekarze zwracają uwagę na istotny problem, jakim jest trudność dziecka w skonsumowaniu pełnego produktu i tym samym przyjęcie pełnej zalecanej dobowej dawki białka [24]. Jak podkreślają lekarze, przyjmowanie niepełnej dawki białka może prowadzić do wzrostu stężenia Phe we krwi chorych, a to z kolei może skutkować nieodwracalnymi powikłaniami. Refundacja PKU Gel<sup>®</sup> stanowi zatem odpowiedź na niezaspokojoną potrzebę chorych i ich rodzin w omawianym wymiarze, jakim jest poprawa zgodności przyjmowanej dawki białka z zaleceniami lekarza lub dietetyka.

W jednoramiennym badaniu przedstawionym w publikacji *MacDonald 2001* (badanie włączone do *Analizy klinicznej* [24]) zaprezentowano wyniki badania przeprowadzonego na próbie 9 dzieci w wieku 1-10 lat, które przed badaniem były poddane restrykcyjnej diecie o niskiej zawartości fenyloalaniny, po czym zaczęły przyjmować PKU Gel<sup>®</sup> przez okres 8 tygodni. Objętość przyjmowanej dawki, smak oraz tekstura produktu w postaci PKU Gel<sup>®</sup> okazała się satysfakcjonująca dla większości badanych dzieci i żadne z nich nie chciało wrócić do poprzednio przyjmowanej diety. W opinii rodziców dzieci chorych na PKU zaletami PKU Gel<sup>®</sup> są także: brak konieczności odmierzania dawki produktu (PKU Gel<sup>®</sup> dostępny jest w postaci saszetek o ściśle odmierzonej zawartości białka), brak konieczności dodawania witamin i substancji mineralnych do diety dzieci (PKU Gel<sup>®</sup> zawiera w swoim składzie

wszystkie potrzebne witaminy i składniki mineralne konieczne do prawidłowego wzrostu dzieci), dobrą konsystencję, akceptowalny smak, łatwość i szybkość przygotowania dawki produktu, mniejszą objętość i lepkość produktu niż inne diety eliminacyjne.

Pozytywna decyzja refundacyjna dotycząca PKU Gel<sup>®</sup> sprawi, że chorzy zyskają środek spożywczy łatwy w stosowaniu, dostępny w różnych smakach, w wygodnym opakowaniu, który będą mogli spożywać od 6 miesiąca do 10 roku życia w formie żelu lub niskoobjętościowego płynu. Możliwość przyjmowania produktów wielosmakowych w przypadku dzieci jest szczególnie istotna, ponieważ dzieci chętniej je spożywają i nie zaprzestają kontynuowania koniecznej diety. Przerwanie terapii może spowodować zaburzenia neurologiczne, a restrykcyjne przestrzeganie diety powinno być szczególnie silnie przestrzegane we wczesnych stadiach rozwojowych, tj. w przypadku niemowląt i dzieci.

Przyjmowanie diety w formie pojedynczej porcji ze ściśle określoną dawką substytutu białka pomaga kontrolować pacjentom i opiekunom ilość przyjmowanego preparatu, co korzystnie wpływa na przestrzeganie zaleceń lekarskich, a w konsekwencji na stan ich zdrowia. Dzięki temu nie dochodzi do pomyłek w ilości przyjętego substytutu białka, jak również wyklucza to marnowanie resztek produktu, co ma miejsce w przypadku tradycyjnych opakowań diet eliminacyjnych w postaci puszek. Co więcej, PKU Gel<sup>®</sup> jest produktem niskoobjętościowym (dziennie zapotrzebowanie na białko jest zaspokajane za pomocą niewielkiej objętości żelu/płynu sporządzanego z wykorzystaniem PKU Gel<sup>®</sup>), w związku z czym jego spożycie nie stanowi większego problemu (zwłaszcza u dzieci), ale jednocześnie zapewnia zbilansowaną dietę u osób chorych na fenyloketonurię.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup>   nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem terapii.

Decyzja dotycząca finansowania diety eliminacyjnej PKU Gel<sup>®</sup> ze środków publicznych nie wpłynie w żaden sposób na prawa pacjenta czy też prawa człowieka.

Na podstawie wniosków płynących z analizy stwierdzono, iż zasadnym jest stosowanie wnioskowanego produktu w praktyce klinicznej i objęcie go finansowaniem ze środków publicznych.



**Tabela 49.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie;	Żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Duża korzyść dla wąskiej grupy osób
Czy technologia stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych;	Tak/Nie
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
<b>Należy rozważyć czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>	
wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
wywoływać lęk;	Nie
powodować dylematy moralne;	Nie
stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
<b>Konieczne jest też przeanalizowanie, czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>	
nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
czy stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
<b>Należy określić, czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>	
konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania;	Nie
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

## 7. Założenia i ograniczenia

Populację docelową dla technologii wnioskowanej stanowią dzieci chore na fenyloketonurię w wieku od 6 miesięcy do 10 lat. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

⊕ [Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

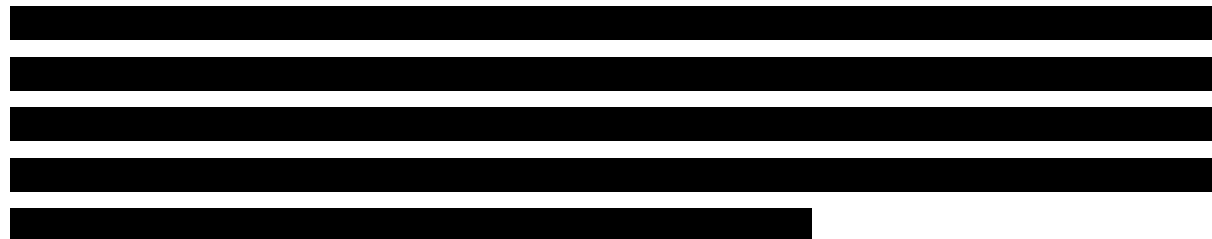


[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]





Pozytywna decyzja refundacyjna dotycząca PKU Gel<sup>®</sup> sprawi, że chorzy zyskają środek spożywczy łatwy w stosowaniu, dostępny w różnych smakach, w wygodnym opakowaniu, który będą mogli spożywać w formie żelu lub niskoobjętościowego płynu. Możliwość przyjmowania produktów wielosmakowych w przypadku dzieci jest szczególnie istotna, ponieważ dzieci chętniej je spożywają i nie zaprzestają kontynuowania koniecznej diety. Przyjmowanie diety w formie pojedynczej porcji ze ściśle określoną dawką substytutu białka pomaga kontrolować pacjentom i opiekunom ilość przyjmowanego preparatu, co korzystnie wpływa na przestrzeganie zaleceń lekarskich, a w konsekwencji na stan ich zdrowia. Dzięki temu nie dochodzi do pomyłek w ilości przyjętego substytutu białka, jak również wyklucza to marnowanie reszty produktu, co ma miejsce w przypadku tradycyjnych opakowań diet eliminacyjnych w postaci puszek. Co więcej, PKU Gel<sup>®</sup> jest produktem niskoobjętościowym, w związku z czym jego spożycie nie stanowi większego problemu (zwłaszcza u dzieci), ale jednocześnie zapewnia zbilansowaną dietę u osób chorych na fenyloketonurię.



Nazwa diety eliminacyjnej	Kod EAN	sty-14	lut-14	mar-14	kwi-14	maj-14	cze-14	lip-14	sie-14	wrz-14	paź-14	lis-14	gru-14
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	0	4	7	19	17	11	27	13	27	24	21	33
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	0	3	3	7	15	3	18	10	6	19	27	3
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	3	9	20	13	56	44	62	34	82	87	60	60
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	0	2	6	12	0	5	4	5	5	11	0	7
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	0	0	3	13	21	3	21	13	22	24	12	19
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	0	1	0	3	8	8	12	3	24	11	17	14
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	0	9	4	20	30	45	61	42	32	41	42	22
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	0	0	0	1	1	0	4	10	0	1	0	0
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	1	11	5	12	57	20	28	34	68	42	29	41
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	0	6	6	11	24	9	47	6	33	30	20	29



Nazwa diety eliminacyjnej	Kod EAN	sty-14	lut-14	mar-14	kwi-14	maj-14	cze-14	lip-14	sie-14	wrz-14	paź-14	lis-14	gru-14
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	12	19
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	30	78
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	6	62
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	27
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	5	10
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	195	145	202	211	237	177	259	179	200	289	148	244
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	1 322	1 466	1 499	1 517	1 369	1 815	1 823	1 240	1 794	1 543	602	2 938
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	1 722	1 426	1 779	1 881	1 497	1 798	1 916	1 516	1 650	1 804	140	3 433
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	390	300	364	309	303	256	459	322	190	391	242	299
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	152	127	126	152	104	129	117	80	147	150	102	178
Milupa pku 1, proszek,	5016533644418	35	34	62	35	48	31	65	58	23	45	26	35
Milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	40	75	48	44	64	34	52	48	46	66	19	60
Milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	752	761	792	753	882	795	866	659	898	772	638	961

Nazwa diety eliminacyjnej	Kod EAN	sty-14	lut-14	mar-14	kwi-14	maj-14	cze-14	lip-14	sie-14	wrz-14	paź-14	lis-14	gru-14
Milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	352	353	335	380	336	358	458	316	382	415	306	421
Milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	211	334	257	298	266	308	351	255	280	306	312	263
Milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	74	125	161	166	111	105	158	133	93	158	129	165
Milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	79	222	185	128	141	174	184	214	183	199	130	163
Milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	39	72	30	0	42	47	33	0	62	64	12	8
Milupa pku 3 advanta, proszek,	5016533644449	409	402	372	412	364	322	465	331	327	392	387	329

**Tabela 51.**

**Liczba zrefundowanych opakowań diet eliminacyjnych stosowanych w fenylketonurii od stycznia 2015 r. do stycznia 2016 r. w ujęciu miesięcznym**

Nazwa diety eliminacyjnej	kod EAN	sty-15	lut-15	mar-15	kwi-15	maj-15	cze-15	lip-15	sie-15	wrz-15	paź-15	lis-15	gru-15	sty-16
Easiphen o smaku owoców leśnych, płyn doustny,	5016533625929	74	73	92	80	64	83	98	49	55	116	81	55	53
Lophlex o smaku neutralnym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630992	25	57	33	84	58	31	72	42	24	66	88	52	24
Lophlex o smaku owoców leśnych, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630978	91	153	81	115	119	144	62	112	122	80	106	181	47
Lophlex o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533630985	244	144	228	185	185	168	221	134	151	185	129	177	124



Nazwa diety eliminacyjnej	kod EAN	sty-15	lut-15	mar-15	kwi-15	maj-15	cze-15	lip-15	sie-15	wrz-15	paź-15	lis-15	gru-15	sty-16
Milupa PKU 3 tempora, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	4008976340294	112	70	97	107	88	65	164	90	161	145	128	187	106
Minaphlex, proszek,	5016533640021	99	107	115	123	102	123	100	111	115	148	99	109	0
Minaphlex o smaku waniliowo-ananasowym, proszek,	5016533624878	92	34	130	83	75	88	66	79	62	150	28	85	0
PKU Anamix junior (o smaku czekoladowym), proszek,	5016533648225	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	11	16
PKU Anamix junior (o smaku neutralnym), proszek,	5016533648263	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	47	75
PKU Anamix junior (o smaku owoców leśnych), proszek,	5016533648201	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	4	13
PKU Anamix junior (o smaku pomarańczowym), proszek,	5016533648249	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	3	22	15
PKU Anamix junior (o smaku waniliowym), proszek,	5016533648287	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	17	40
PKU Cooler 10 Orange, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051370	34	20	29	28	22	28	36	33	30	29	36	17	23
PKU Cooler 10 Purple, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051387	22	11	10	17	15	27	11	9	2	16	18	1	6
PKU Cooler 10 Red, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051363	117	56	86	62	88	110	56	72	84	82	72	73	77
PKU Cooler 10 White, płyn, 10/87 g białka/ml	5060014051394	0	10	6	12	1	14	3	22	0	10	3	8	4
PKU Cooler 15 Orange, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051424	27	26	12	9	27	16	7	21	16	32	21	30	9

Nazwa diety eliminacyjnej	kod EAN	sty-15	lut-15	mar-15	kwi-15	maj-15	cze-15	lip-15	sie-15	wrz-15	paź-15	lis-15	gru-15	sty-16
PKU Cooler 15 Purple, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051431	24	12	20	21	9	20	11	13	24	5	17	17	13
PKU Cooler 15 Red, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051417	24	34	10	24	46	14	31	32	16	43	39	8	24
PKU Cooler 15 White, płyn, 15/130 g białka/ml	5060014051479	0	0	3	0	1	5	0	0	0	3	12	0	1
PKU Cooler 20 Orange, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051547	36	40	42	50	75	75	19	34	51	55	52	56	53
PKU Cooler 20 Purple, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051554	44	11	32	26	16	32	35	12	21	23	17	18	26
PKU Cooler 20 Red, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051530	73	74	88	66	63	60	74	83	60	37	70	77	53
PKU Cooler 20 White, płyn, 20/174 g białka/ml	5060014051684	18	7	14	28	5	4	21	10	18	5	15	6	4
PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051745	0	2	2	2	8	4	0	2	0	2	0	0	0
PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051585	0	3	0	0	0	4	0	9	6	0	3	3	1
PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051752	6	3	4	6	0	2	0	3	3	4	2	3	0
PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15/25 g białka/g	5060014051738	0	0	0	0	0	3	3	0	0	3	0	0	9
PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051776	0	0	2	0	8	0	6	15	9	3	6	6	10
PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051639	0	0	0	0	7	3	1	12	0	9	12	0	10

Nazwa diety eliminacyjnej	kod EAN	sty-15	lut-15	mar-15	kwi-15	maj-15	cze-15	lip-15	sie-15	wrz-15	paź-15	lis-15	gru-15	sty-16
PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051783	3	7	6	7	3	8	21	6	18	6	21	18	15
PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20/34 g białka/g	5060014051769	0	9	7	0	22	0	8	21	15	13	13	22	22
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 125 ml	5016533647686	163	248	228	244	237	214	271	309	182	280	266	312	201
PKU Lophlex LQ (Berries), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647693	112	134	130	155	135	131	162	72	105	172	133	127	124
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 125 ml	5016533647747	62	96	50	63	115	86	89	111	56	73	105	60	81
PKU Lophlex LQ (Citrus), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647754	30	29	31	27	30	64	30	64	27	73	33	52	38
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 125 ml	5016533647716	216	240	314	225	342	330	233	302	242	309	308	256	214
PKU Lophlex LQ (Orange), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647723	77	66	50	72	78	81	100	79	55	118	104	95	51
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 125 ml	5016533647778	81	28	71	110	61	61	65	83	71	122	73	110	96
PKU Lophlex LQ (Tropical), płyn doustny, 62,5 ml	5016533647785	27	34	46	48	43	54	36	54	24	58	43	48	49
Phenyl-Free 1, proszek do sporządzania roztworu,	0300875102138	197	202	144	247	211	179	251	196	205	236	163	220	198
Phenyl-Free 2, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100066	1 606	1 481	1 750	1 694	1 553	1 566	1 714	1 334	1 671	1 932	1 741	1 698	1 620
Phenyl-Free 2HP, proszek do sporządzania roztworu,	0300875100127	1 541	1 234	1 700	1 831	1 703	1 360	2 017	1 442	1 540	1 638	1 672	1 656	1 612

Nazwa diety eliminacyjnej	kod EAN	sty-15	lut-15	mar-15	kwi-15	maj-15	cze-15	lip-15	sie-15	wrz-15	paź-15	lis-15	gru-15	sty-16
XP Analog LCP, proszek do sporządzania roztworu doustnego,	5016533644456	297	247	272	268	179	216	260	151	206	244	224	240	242
XP Maxamum o smaku pomarańczowym, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej,	5016533620368	134	108	86	110	122	113	136	78	44	86	144	39	137
milupa pku 1, proszek,	5016533644418	31	32	39	27	44	31	21	28	28	31	17	37	26
milupa pku 1 mix, proszek,	4008976340270	73	95	88	68	131	104	123	127	72	92	65	112	108
milupa pku 2 mix, proszek,	4008976340287	598	664	787	730	694	743	851	545	731	997	730	862	670
milupa pku 2 prima, proszek,	5016533644425	365	354	312	332	406	366	342	281	360	404	349	327	319
milupa pku 2 secunda, proszek,	5016533644432	187	287	249	270	261	192	270	140	216	197	200	231	196
milupa pku 2 shake choco, proszek,	4008976599234	90	101	107	137	123	128	88	149	151	232	145	209	102
milupa pku 2 shake truskawkowy, proszek,	4008976599227	87	173	96	83	105	118	120	118	128	85	128	269	115
milupa pku 3, tabl. powl.,	4008976340331	0	89	28	26	64	1	0	36	0	41	39	32	1
milupa pku 3 advanta, proszek,	5016533644449	414	317	338	336	244	424	389	262	326	446	361	341	335

## 9.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań*

**Tabela 52.**

**Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań***

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
1.	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	TAK, rozdział 2.5.
1.1.	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK, rozdział 2.5.2.
1.2.	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK, rozdział 2.5.1.
1.3.	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK, rozdział 2.5.3.
1.4.	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.5.4.
2.	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.7.
2.1.	Aktualnych	TAK, rozdział 2.7.
2.2.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje	TAK, rozdział 2.7.
3.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
3.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.9.
4.	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
4.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.9.
5.	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.10.
5.1.	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.9.
6.	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń	TAK, rozdział 2.10.

Nr	Zadanie	Tak/Nie/nie dotyczy
	ze środków publicznych.	
8.	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.11.
9.	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 7.
9.1.	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 5.
10.	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11.	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12.	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
12.1.	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13.	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach <ul style="list-style-type: none"> <li>• z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka),</li> <li>• bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka</li> </ul>	■
13.1.	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>• w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> <li>• w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul>	TAK, rozdział 5.

### 9.3. Liczba opakowań technologii wnioskowanej

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

### 9.4. Dopasowania linii trendu

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]

## 10. Spis tabel

Tabela 1. Szacowana wielkość populacji docelowej wskazanej we wniosku .....	21
Tabela 2. Szacowana wielkość populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji dotyczącej refundacji.....	24
Tabela 3. Średnie dzienne zapotrzebowanie na białko dla osób chorych na PKU .....	26
Tabela 4. Zawartość białka w opakowaniach diet eliminacyjnych stosowanych w PKU .....	27
Tabela 5. Liczba dobowych dawek białka w poszczególnych opakowaniach diet eliminacyjnych stosowanych w PKU w kolejnych przedziałach wiekowych.....	31
Tabela 6. Przedziały wiekowe kwalifikujące do terapii z wykorzystaniem diet eliminacyjnych stosowanych w PKU.....	39
Tabela 7. Populacja chorych na PKU kwalifikująca się do terapii z wykorzystaniem diet eliminacyjnych wg przedziałów wiekowych (wariant prawdopodobny).....	43
Tabela 8. Populacje chorych kwalifikujących się do terapii z wykorzystaniem poszczególnych diet eliminacyjnych w okresie analizy (wariant prawdopodobny) .....	45
Tabela 9. Prognoza udziałów w wielkości refundacji diet eliminacyjnych stosowanych w PKU w okresie analizy w scenariuszu istniejącym.....	49
Tabela 10. Prognoza udziałów diet eliminacyjnych w poszczególnych podprzedziałach wiekowych w kolejnych latach refundacji w scenariuszu istniejącym .....	54
Tabela 11. Przejęcie udziałów w rynku diet eliminacyjnych stosowanych w fenyloketonurii przez produkty PKU Gel® .....	90
Tabela 12. Prognoza udziałów diet eliminacyjnych w poszczególnych podprzedziałach wiekowych w kolejnych latach refundacji w scenariuszu nowym .....	91
Tabela 13. Charakterystyka kosztowa diet eliminacyjnych (poza PKU Gel®) w scenariuszu istniejącym i nowym (w PLN).....	109
Tabela 14. Charakterystyka kosztowa diety PKU Gel® w scenariuszu nowym (w PLN) .....	113
Tabela 15. Średnia wielkość populacji chorych na PKU kwalifikującej się do terapii z wykorzystaniem diet eliminacyjnych wg przedziałów wiekowych (wariant prawdopodobny) .....	114
Tabela 16. Populacje chorych kwalifikujących się do terapii z wykorzystaniem poszczególnych diet eliminacyjnych oraz udziały w ogólnej wielkości refundacji w okresie danych refundacyjnych (wariant prawdopodobny).....	116
Tabela 17. Prawdopodobna wartość aktualnych rocznych wydatków budżetowych na diety eliminacyjne w poszczególnych podprzedziałach wiekowych .....	120





[Redacted content]

Tabela 43. Dane wejściowe uwzględniane w analizie wpływu na budżet.....166

Tabela 44. Parametry użyte w analizie wrażliwości wraz z zakresem zmienności i źródłem danych .....168

[Redacted content]

Tabela 49. Aspekty społeczne i etyczne .....176

Tabela 50. Liczba zrefundowanych opakowań diet eliminacyjnych stosowanych w fenylketonurii od stycznia 2014 r. do grudnia 2014 r. w ujęciu miesięcznym...183

Tabela 51. Liczba zrefundowanych opakowań diet eliminacyjnych stosowanych w fenylketonurii od stycznia 2015 r. do stycznia 2016 r. w ujęciu miesięcznym..187

Tabela 52. Check-lista zgodności analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w *Rozporządzeniu MZ w sprawie minimalnych wymagań* .....192

Tabela 53. Określenie rocznej wielkości dostaw technologii wnioskowanej w przypadku objęcia refundacją, wyrażonej w liczbie opakowań w wariancie prawdopodobnym.....194

Tabela 54. Jakość dopasowania linii trendu do danych empirycznych opisujących liczbę żywych urodzeń w Polsce w latach 1997 – 2014.....194

---

Tabela 55. Jakość dopasowania linii trendu do danych empirycznych opisujących liczbę mieszkańców w Polsce w latach 1997 – 2014.....194

## 11. Spis rysunków

Rysunek 1. Możliwe scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet.....18

Rysunek 2. Szacowana wielkość populacji docelowej wskazanej we wniosku .....22



## 12. Bibliografia

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, Opinia Rady Konsultacyjnej nr 1/2012 z dnia 30 stycznia 2012 r. w sprawie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnego w aptece na receptę stosowanego w fenyloketonurii, Warszawa 2012
2. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, *Wytyczne Oceny Technologii Medycznych stanowiące załącznik do Zarządzenia Nr 1/2010 Prezesa AOTM z dnia 4 stycznia 2010 r. w sprawie wytycznych oceny świadczeń opieki zdrowotnej*
3. ██████████, *Preparat PKU Gel® (środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego) w fenyloketonurii – analiza ekonomiczna*
4. Cabalska B, *Characteristics of proteins in dietary treatment of phenylketonuria*, *Pediatrics Współczesna. Gastroenterologia, Hepatologia i Żywnienie Dziecka* 2000, 2(2), s. 125-128 (data dostępu: 04.04.2016 r.)
5. Cristine M. Trahms Program for Phenylketonuria – University of Washington, *Treatment Guidelines: Nutrition Management of the Toddler/Young Child*, <http://depts.washington.edu/pku/hcproviders/treatment/toddlerpro3.htm> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
6. Dane dostarczone przez Zamawiającego
7. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym. Stan w dniu 31XII 2014 r.*
8. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym. Stan w dniu 31XII 2013 r.*
9. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym. Stan w dniu 31XII 2012 r.*
10. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura ludności oraz ruch naturalny w przekroju terytorialnym. Stan w dniu 31XII 2011 r.*
11. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura w przekroju terytorialnym – 2010 r.*
12. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura w przekroju terytorialnym – 2009 r.*
13. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura w przekroju terytorialnym – 2008 r.*
14. Główny Urząd Statystyczny, *Ludność. Stan i struktura w przekroju terytorialnym – 2007 r.*



- 
28. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2016 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrów. 2016.48), <http://www.mz.gov.pl/leki/refundacja/lista-lekow-refundowanych-obwieszczenia-ministra-zdrowia> (data dostępu: 28.04.2016 r.)
  29. Opis środka spożywczego Easiphen<sup>®</sup>: <http://pkuconnect.pl/easiphen/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  30. Opis środka spożywczego Lophlex<sup>®</sup>: <http://pkuconnect.pl/lophlex-proszek/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  31. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 1: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-1/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  32. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 1 Mix: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-1-mix-2/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  33. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Mix: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-2-mix/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  34. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Prima: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-2-prima/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  35. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Secunda: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-2-secunda/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  36. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 2 Shake: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-2-shake/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  37. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 3 Advanta: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-3-advanta/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  38. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 3 Tabletki: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-3-tabletki/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  39. Opis środka spożywczego Milupa PKU<sup>®</sup> 3 Tempora: <http://pkuconnect.pl/milupa-pku-3-tempora/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  40. Opis środka spożywczego Minaphlex<sup>®</sup>: <http://pkuconnect.pl/minaphlex/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
-

- 
41. Opis środka spożywczego Phenyl-Free<sup>®</sup> 1 <https://www.meadjohnson.com/pediatrics/us-en/product-information/products/metabolics/phenyl-free-1#nutrients-sup-sup> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  42. Opis środka spożywczego Phenyl-Free<sup>®</sup> 2: <https://www.meadjohnson.com/pediatrics/us-en/product-information/products/metabolics/phenyl-free-2#nutrients-sup-sup> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  43. Opis środka spożywczego Phenyl-Free<sup>®</sup> 2 HP: <https://www.meadjohnson.com/pediatrics/us-en/product-information/products/metabolics/phenyl-free-2hp#nutrients-sup-sup> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  44. Opis środka spożywczego PKU Anamix junior<sup>®</sup>: [http://nutriciamedyczna.pl/products,7,79,pku\\_anamix.html](http://nutriciamedyczna.pl/products,7,79,pku_anamix.html) (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  45. Opis środka spożywczego PKU Cooler<sup>®</sup>: [http://www.vitaflousa.com/wp-content/uploads/2013/11/PKU-Cooler-System-A5-12200-USA\\_Feb.-2013.pdf](http://www.vitaflousa.com/wp-content/uploads/2013/11/PKU-Cooler-System-A5-12200-USA_Feb.-2013.pdf) (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  46. Opis środka spożywczego PKU Express<sup>®</sup>: [http://www.vitaflousa.com/wp-content/uploads/2013/11/PKU-express\\_data.pdf](http://www.vitaflousa.com/wp-content/uploads/2013/11/PKU-express_data.pdf) (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  47. Opis środka spożywczego PKU Gel<sup>®</sup>: [https://www.nestlehealthscience.com/asset-library/Documents/Vitaflo/Metabolic/L0060\\_DC2\\_UK\\_0615%20PKU%20GEL%20WEB.pdf](https://www.nestlehealthscience.com/asset-library/Documents/Vitaflo/Metabolic/L0060_DC2_UK_0615%20PKU%20GEL%20WEB.pdf) (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  48. Opis środka spożywczego PKU Lophlex LQ<sup>®</sup>: <http://pkuconnect.pl/pku-lophlex-lq-nowosc/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  49. Opis środka spożywczego XP Analog<sup>®</sup> LCP: <http://pkuconnect.pl/xp-analog-lcp-2/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  50. Opis środka spożywczego XP Maxamum<sup>®</sup>: <http://pkuconnect.pl/xp-maxamum/> (data dostępu: 05.04.2016 r.)
  51. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 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,
-

---

<http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=b4&ms=311&ml=pl&mi=311&mx=0&mt=&my=89&ma=019625> (data dostępu: 04.04.2016 r.)

52. Sendcka E., Cabalska B., *Standardy postępowania i leczenia fenyloketonurii*, Medycyna Wieku Rozwojowego V,1, 2001
  53. Światowa Organizacja Zdrowia, *Normy rozwojowe dla dziecka*, [http://www.who.int/childgrowth/standards/sft\\_wfa\\_boys\\_p\\_0\\_5.pdf?ua=1](http://www.who.int/childgrowth/standards/sft_wfa_boys_p_0_5.pdf?ua=1), [http://www.who.int/childgrowth/standards/sft\\_wfa\\_girls\\_p\\_0\\_5.pdf?ua=1](http://www.who.int/childgrowth/standards/sft_wfa_girls_p_0_5.pdf?ua=1) (data dostępu: 08.04.2016 r.)
  54. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 Nr 122, poz. 696, z poz. zm.)
  55. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. Nr. 210, poz. 2135, z poz. zm.)
-