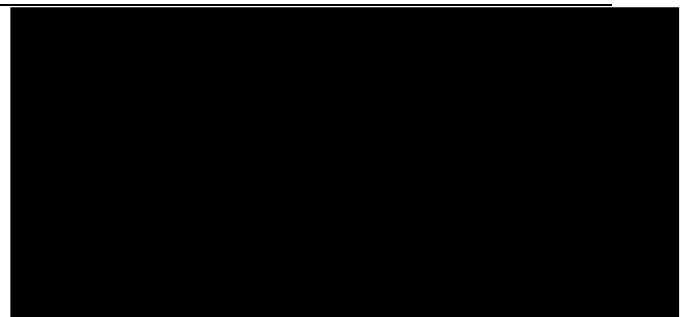


# **ANALIZA WPŁYWU NA BUDŻET**

**(Z ELEMENTAMI ANALIZY RACJONALIZACYJNEJ)**

## **PARYKALCYTOL I.V. W LECZENIU WTÓRNEJ NADCZYNNNOŚCI PRZYTARCZYC U HEMODIALIZOWANYCH PACJENTÓW W 5. STADIUM PRZEWLEKŁEJ CHOROBY NEREK**

Wersja 1.0



[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

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

Analiza została sfinansowana i przeprowadzona na zlecenie:

**Abbott Laboratories Poland Sp. z o.o.**

ul. Postępu 21B  
02-676 Warszawa

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

## SPIS TREŚCI

<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Wprowadzenie do analizy .....</b>	<b>9</b>
1.1.    Cel analizy .....	9
1.2.    Problem zdrowotny.....	9
1.3.    Stan aktualny.....	10
1.4.    Technologia oceniana .....	12
1.5.    Technologia alternatywna .....	14
1.6.    Uzasadnienie utworzenia odrębnej grupy limitowej .....	15
1.7.    Założenia analizy.....	16
1.8.    Sposób przeprowadzenia analizy .....	16
<b>2. Metodyka i dane źródłowe .....</b>	<b>18</b>
2.1.    Perspektywa analizy .....	18
2.2.    Horyzont czasowy analizy .....	18
2.3.    [Redacted] .....	
2.4.    [Redacted] .....	
2.5.    [Redacted] .....	
2.6.    Rozpowszechnienie .....	21
2.7.    Zużycie zasobów .....	22
2.8.    Koszty.....	25
2.9.    Analiza wrażliwości .....	26
<b>3. Wyniki .....</b>	<b>28</b>
3.1.    Populacja docelowa .....	28
3.2.    Scenariusz aktualny .....	28
3.3.    Scenariusz prognozowany .....	29
3.4.    Wydatki inkrementalne .....	30
<b>4. Analiza wrażliwości .....</b>	<b>32</b>
<b>5. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia.....</b>	<b>34</b>
5.1.    Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....	34
5.2.    Aspekty etyczne i społeczne .....	34
<b>6. Analiza racjonalizacyjna .....</b>	<b>36</b>

<b>7. Podsumowanie i wnioski .....</b>	<b>37</b>
<b>8. Dyskusja .....</b>	<b>39</b>
<b>9. Ograniczenia .....</b>	<b>42</b>
<b>10. Bibliografia .....</b>	<b>43</b>
<b>11. Spis tabel .....</b>	<b>46</b>
<b>12. Aneks .....</b>	<b>47</b>
12.1. Populacja docelowa .....	47

## INDEKS SKRÓTÓW

<b>AOTM</b>	Agencja Oceny Technologii Medycznych
<b>AP</b>	Fosfataza alkaliczna
<b>BIA</b>	Analiza wpływu na budżet ( <i>Budget Impact Analysis</i> )
<b>Ca</b>	Wapń ( <i>Calcium</i> )
<b>ChPL</b>	Charakterystyka Produktu Leczniczego
<b>DDD</b>	Zdefiniowana dawka dobową ( <i>Defined Daily Dose</i> )
<b>EMA</b>	Europejska Agencja Leków ( <i>European Medicines Agency</i> )
<b>FDA</b>	A amerykańska Agencja do Spraw Żywności i Leków ( <i>Food and Drug Administration</i> )
<b>GFR</b>	Poziom filtracji kłębuszkowej ( <i>Glomerular Filtration Rate</i> )
<b>HTA</b>	Ocena Technologii Medycznych ( <i>Health Technology Assessment</i> )
<b>iPTH</b>	Natywny parathormon ( <i>Intact Parathyroid Hormone</i> )
<b>JGP</b>	Jednorodne Grupy Pacjentów
<b>KDIGO</b>	Organizacja non-profit, której celem jest poprawa opieki i wyników leczenia pacjentów z chorobami nerek ( <i>Kidney Disease Improving Global Outcomes</i> )
<b>KDOQI</b>	Komitet zajmujący się tworzeniem wytycznych postępowania w nefrologii w oparciu o dowody naukowe ( <i>Kidney Disease Outcome Quality Initiative – US National Kidney Foundation</i> )
<b>NFZ</b>	Narodowy Fundusz Zdrowia
<b>P</b>	Fosfor ( <i>Phosphorus</i> )
<b>PChN</b>	Przewlekła choroba nerek
<b>PNN</b>	Przewlekła niewydolność nerek (5. stadium PChN)
<b>PTH</b>	Parathormon ( <i>Parathormone</i> )
<b>RCT</b>	Randomizowane badanie kontrolowane ( <i>Randomized Controlled Trial</i> )
<b>TPZ</b>	Terapeutyczny Program Zdrowotny
<b>WHO</b>	Światowa Organizacja Zdrowia ( <i>World Health Organization</i> )
<b>WNP</b>	Wtórna nadczynność przytarczyc

## STRESZCZENIE

**Cel** Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków, które musiałby ponieść płatnik publiczny (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych parykalcytolu (Zemplar®) w postaci roztworu do wstrzykiwań u hemodializowanych pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc (w populacji docelowej oraz refundacyjnej) w 5. stadium przewlekłej choroby nerek w ramach programu lekowego.

**Metodyka** W analizie wpływu na budżet założono, że parykalcytol w postaci roztworu do wstrzykiwań będzie finansowany w ramach programu lekowego z następującymi kryteriami włączenia (populacja docelowa – populacja wskazana we wniosku refundacyjnym):

[Redacted text block]

Liczebność populacji docelowej – spełniającej kryteria włączenia do programu lekowego dla parykalcytolu – wyznaczono na podstawie raportów o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce w [Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted] ym samym przyjęto, że wszyscy pacjenci będą spełniać to kryterium, potencjalnie zawyżając liczbę chorych kwalifikujących się do leczenia parykalcytolem.

[Redacted text block]



[Redacted]

**Wydatki inkrementalne**

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

**Wnioski**

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



## 1. WPROWADZENIE DO ANALIZY

### 1.1. Cel analizy

Celem analizy wpływu na budżet jest określenie przewidywanych wydatków, które musiałby ponieść płatnik publiczny (Narodowy Fundusz Zdrowia, NFZ) w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych parykalcytolu (Zemplar®) w postaci roztworu do wstrzykiwań u hemodializowanych pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc w 5. stadium przewlekłej choroby nerek [REDACTED]

### 1.2. Problem zdrowotny

Nadczynność przytarczyc to stan zwiększonego wydzielania parathormonu (PTH), niewspółmiernego do aktualnych potrzeb organizmu i niewrażliwego lub mało wrażliwego na supresyjne działanie hiperkalcemii. Wtórna nadczynność przytarczyc (WNP) polega na kompensacyjnym rozroście przytarczyc i wzmożonym wydzielaniu PTH w wyniku ich długotrwałej stymulacji przez obniżone stężenie jonów wapnia w osoczu, a także podwyższone stężenie fosforanów i obniżone stężenie kalcytriolu w osoczu. WNP nie ma specyficznych objawów; chorzy skarżą się na bóle kostno-stawowe, osłabienie siły mięśniowej (manifestujące się zwłaszcza trudnościami w chodzeniu), niekiedy uporczywy świąd. Ponadto ocenia się, że w przebiegu wtórnej nadczynności przytarczyc u 10-20% chorych występują patologiczne złamania kości. Występowanie wtórnej nadczynności przytarczyc wiąże się z wyższym ryzykiem rozwoju miażdżycy, wystąpienia zdarzeń sercowo-naczyniowych oraz wzrostem ryzyka zgonu z powodu chorób układu krążenia. [1]

Wtórna nadczynność przytarczyc jest powszechnym powikłaniem u pacjentów z przewlekłą chorobą nerek (PChN), w ramach której wyróżnia się 5 stadiów ciężkości choroby. Zaburzenia sugerujące występowanie WNP rzadko pojawiają się w stadium 1. lub 2. Z klinicznego punktu widzenia istotny jest podział wtórnej nadczynności przytarczyc na okres przeddializacyjny (3. lub 4. stadium PChN) oraz okres schyłkowej niewydolności nerek (5. stadium PChN) związany z dializami. Z danych zawartych w „Raporcie o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce” wynika, że pod koniec [REDACTED] roku dializowano [REDACTED] chorych z przewlekłą niewydolnością nerek. Główną przyczyną niewydolności nerek była nefropatia cukrzycowa [REDACTED]. Wśród innych istotnych czynników etiologicznych należy wymienić: przewlekłe kłębuszkowe zapalenie nerek [REDACTED] nefropatię nadciśnieniową [REDACTED] oraz wielotorbielowatość nerek [REDACTED] [2]. W ciągu kilku ostatnich lat liczba dializowanych chorych systematycznie wzrastała, a w związku ze

starzeniem się społeczeństwa oraz wzrostem częstości występowania chorób cywilizacyjnych należy spodziewać się utrzymania tego trendu.

Rozpoznanie wtórnej nadczynności przytarczyc dokonuje się na podstawie oceny poziomu parathormonu w surowicy. Prawidłowe wartości dla osób zdrowych zawierają się w przedziale 10-60 pg/ml [3]. U chorych z przewlekłą chorobą nerek, w celu zapewnienia prawidłowego obrotu kostnego, konieczne jest utrzymywanie stężenia PTH na wyższym poziomie, zależnym od stadium przewlekłej choroby nerek (Tabela 1). Wzrost stężenia parathormonu powyżej 450 pg/ml, jednoznacznie wskazuje na rozwój wtórnej nadczynności przytarczyc. [3, 4]

Dane pochodzące z Polskiego Rejestru Nefrologicznego wskazują, że jedynie [REDACTED] chorych dializowanych ma pożądane wartości PTH, natomiast około 30% pacjentów miało podwyższone wartości parathormonu [REDACTED] wskazujące na niekontrolowaną wtórną nadczynność przytarczyc. [2]

**Tabela 1.**  
Zalecane zakresy stężeń parathormonu dla chorych z PChN

Stadium PChN	iPTH <sup>a</sup> (pg/ml)
1-2	≤ 60
3	35-70
4	70-150
5	150-300 <sup>b</sup>

a) Podstawową metodą oznaczenia parathormonu w osoczu wykorzystywaną obecnie jest oznaczanie PTH natywnego (iPTH, intact PTH).

b) Zgodnie z nowymi wytycznymi KDIGO, u pacjentów w 5. stadium przewlekłej choroby nerek poddawanych dializom zaleca się utrzymywanie poziomu PTH w granicach od 2 do 9-krotności górnej granicy normy.

### 1.3. Stan aktualny

Obecnie najlepszym, przywracającym prawidłowe funkcjonowanie hormonalnego sprzężenia zwrotnego (parathormon – wapń – witamina D) postępowaniem w leczeniu wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek jest transplantacja nerki. Jeśli nie jest to możliwe, podejmuje się leczenie objawowe, którego celem jest utrzymanie poziomu wapnia, fosforu oraz parathormonu na odpowiedniej wysokości, właściwej dla danego stopnia zaawansowania przewlekłej choroby nerek. Docelowe wartości tych parametrów przedstawiono w Tabeli 2. [5, 6]

**Tabela 2.**  
**Zalecane zakresy stężeń PTH, Ca i P w poszczególnych stadiach przewlekłej choroby nerek [7]**

Stadium PChN	iPTH (pg/ml)	Wapń (mg/dl)	Fosfor (mg/dl)
1-2	do 60	8,5-10,5	2,9-4,6
3	35–75		2,7-4,6
4	70–150	8,4-9,5	3,5-5,5
5	150–300 <sup>a</sup>		

a) Zgodnie z nowymi wytycznymi KDIGO, u pacjentów w 5. stadium przewlekłej choroby nerek poddawanych dializom zaleca się utrzymywanie poziomu PTH w granicach od 2 do 9-krotności górnej granicy normy. Aktualizacja zaleceń KDIGO w aspekcie docelowego poziomu PTH wynika z najnowszych badań, w których stwierdzono, że zakres iPTH 150-300 pg/ml nie jest czynnikiem pozwalającym z wystarczającą pewnością wnioskować o gęstości mineralnej kości/ryzyku złamań.[8]

W celu osiągnięcia zakładanych wartości wymienionych markerów biochemicznych, w pierwszej kolejności poddaje się ścisłej kontroli ilość przyjmowanego z pokarmem fosforu (poprzez ograniczenia w diecie). W momencie, gdy strategia ograniczenia spożycia fosforanów staje się niewystarczająca, konieczne jest stosowanie związków wiążących fosforany, do których należą:

- węglan wapnia (Calcutugg®),
- chlorowodorek sewelameru (Renagel®),
- octan wapnia – zalecany przez NICE, jednak niedostępny w Polsce,
- wodorotlenek glinu – stosowany w Polsce u ok. 11% pacjentów pomimo braku rekomendacji (w związku z wysokim ryzykiem zatrucia),
- węglan lantanu – nie jest rekomendowany ze względu na obawę o możliwość kumulacji w organizmie.

Nowe wytyczne KDIGO (Kidney Disease Improving Global Outcomes) zalecają utrzymywane PTH u tej grupy pacjentów w zakresie od 2 do 9-krotności górnej granicy normy, która wynosi 60 pg/ml. Autorzy podkreślają również konieczność działań wyprzedzających, tj. obserwacji zmian stężeń PTH w surowicy i odpowiednio wczesne wdrożenie/zmodyfikowanie leczenia, jeszcze przed przekroczeniem zalecanych przez wytyczne wartości.

W przypadku narastania stężenia PTH zaleca się podawanie kalcytriolu, analogów witaminy D, kalcymimetyków lub kombinacji tych leków w celu obniżenia poziomu PTH. W przypadku spadku PTH poniżej dwukrotności górnej granicy normy zaleca się odstawienie lub zmniejszenie dawek kalcytriolu, analogów witaminy D oraz kalcymimetyków [8]. W przypadku, gdy pomimo zastosowania prawidłowego leczenia farmakologicznego objawy kliniczne ulegają zaostrzeniu,

rozważane jest przeprowadzanie operacyjnego usunięcia przytarczyc (całkowitej lub częściowej paratyreoidektomii). [7]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

#### 1.4. Technologia oceniana

Parykalcytol i.v. (Zemplar®) jest selektywnym aktywatorem receptora dla witaminy D wskazanym w zapobieganiu i leczeniu wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek u pacjentów dializowanych. [12]

W analizie wpływu na budżet założono, że refundowany będzie parykalcytol w postaci roztworu do wstrzykiwań w opakowaniach zawierających [REDACTED]

DDD parykalcytolu i.v. wynosi [REDACTED]. Dawkowanie substancji na podstawie ChPL oraz projektu programu lekowego przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 3).

**Tabela 3.**  
**Dawkowanie parykalcytolu i.v.**

Postać farmaceutyczna	Dawka początkowa	Dostosowanie dawki
Roztwór do wstrzykiwań [12]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]. Może być jednak stosowany w lecznictwie zamkniętym i finansowany w ramach kontraktów na lecznictwo szpitalne.

Parykalcytol i.v. jest lekiem o udowodnionej skuteczności i akceptowalnym profilu bezpieczeństwa w terapii wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej choroby nerek w stadium 5.

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]. W pojedynczych badaniach RCT nie stwierdzono istotnych [REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]

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

[REDACTED]

Szczegółowy opis ocenianej interwencji przedstawiono w analizie efektywności klinicznej [1].

### 1.5. Technologia alternatywna

[REDACTED]



## 1.7. Założenia analizy

W analizie wpływu na budżet wyznaczono koszty związane z aktualnie prowadzonym programem lekowym (scenariusz aktualny), koszty które musiałby ponieść płatnik publiczny w przypadku wprowadzenia finansowania dodatkowo parykalcytolu i.v. w ramach programu lekowego (scenariusz prognozowany), a także wyznaczono wydatki inkrementalne, tj. różnicę w wydatkach między scenariuszem prognozowanym a aktualnym.

Przyjęto, że parykalcytol i.v. finansowany będzie w ramach programu lekowego [REDACTED]. Populację docelową określono na podstawie kryteriów włączenia do programu lekowego.

Liczebność populacji docelowej dla parykalcytolu i.v. wyznaczono kompilując dane pochodzące z „Raportu o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce” z lat 2003–2008 [2, 16–19], opracowanego przez Zespół Konsultanta Krajowego w Dziedzinie Nefrologii [REDACTED]

[REDACTED] Koszty leków oraz procedur medycznych uzyskano z katalogu NFZ, rozporządzeń Ministerstwa Zdrowia oraz od Zamawiającego. [REDACTED]

Zestawienie źródeł danych zawiera Tabela 5.

**Tabela 5.**  
Dane źródłowe uwzględnione w analizie

Parametr	Źródło
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

## 1.8. Sposób przeprowadzenia analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – niniejszego dokumentu oraz arkusza kalkulacyjnego, umożliwiającego obliczenie prognozowanych wydatków płatnika w zależności od przyjętych założeń, a także przeprowadzenie analiz wrażliwości. Obliczenia wykonywano w programie MS Excel 2007.



Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

[Redacted text block containing multiple paragraphs of information, all obscured by black bars.]

## 2. METODYKA I DANE ŹRÓDŁOWE

### 2.1. Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego (NFZ). Ze względu na założenie finansowania parykalcytolu i.v. w ramach programu lekowego i brak partycypacji pacjentów w kosztach terapii, nie przeprowadzono analizy z poszerzonej perspektywy płatnika publicznego.

### 2.2. Horyzont czasowy analizy

Analizę opracowano przy założeniu, że parykalcytol i.v. będzie finansowany przez NFZ począwszy

[REDAKTOWANE]

Zgodnie z wytycznymi AOTM horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi lub co najmniej w ciągu 2 lat od wprowadzenia nowej technologii [25]. [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[Redacted text block]

Tabela 6.

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[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 text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]



wnioskować z posiadanych danych o [REDACTED]  
[REDACTED]

**Tabela 9.**  
**Dane sprzedażowe i udziały rynkowe**

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

[REDACTED]

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

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

## 2.7. Zużycie zasobów

[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]

Średnie dawki przyjęte w analizie wpływu na budżet w poszczególnych scenariuszach zestawiono w Tabeli 10.

Tabela 10.

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

### Dializy

[REDACTED]

[21] (Tabela 11).

W raporcie o stanie leczenia nerkozastępczego z [REDACTED] podano, że w [REDACTED] wykonano [REDACTED] u chorych z przewlekłą niewydolnością nerek. Liczba hemodializowanych na [REDACTED] wynosiła [REDACTED] osób, a w ciągu całego roku dializowano [REDACTED] chorych, z czego [REDACTED] wykonywano hemodializy [REDACTED]

[REDACTED]



## Hospitalizacje

Średnioroczną liczbę hospitalizacji pacjentów leczonych w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego wyznaczono w analizie kosztów [22]. [REDACTED] (Tabela 11).

Tabela 11.  
Zużycie zasobów w analizie wpływu na budżet

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

## 2.8. Koszty

W analizie wpływu na budżet uwzględniono następujące kategorie kosztowe:

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

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

Wszystkie z wymienionych wyżej badań wchodzi w zakres procedur objętych kosztem świadczenia „hemodializa” i są regularnie wykonywane w związku z monitorowaniem pacjentów hemodializowanych [26]. W związku z powyższym w analizie nie uwzględniono dodatkowych kosztów związanych z monitorowaniem pacjentów leczonych [REDACTED]

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

Koszty hemodializ oraz hospitalizacji uzyskano z przeprowadzonej analizy kosztów [22]. Koszty te są kosztami wspólnymi scenariusza aktualnego i prognozowanego (wprowadzenie finansowania parykalcytolu i.v. nie wpłynie na wysokość tych kosztów). Kategorie te zostały uwzględnione w celu przedstawienia kontekstu, w jakim znajdują się koszty związane z wydatkami [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W Tabeli 12 zestawiono koszty jednostkowe przypisane analizowanym kategoriom kosztowym.

Tabela 12.  
Ceny jednostkowe uwzględnione w analizie wpływ na budżet

Świadczenie	Koszt jednostkowy
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]

## 2.9. Analiza wrażliwości

Dane uwzględnione w analizie mogą podlegać zmianom w zależności od różnych czynników i okoliczności, których nie sposób na obecnym etapie przewidzieć. W związku z tym przeprowadzono jednokierunkową analizę wrażliwości dla następujących parametrów:

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Szczegółowy opis uwzględnionych wariantów analizy wrażliwości oraz wyniki zostały przedstawione w rozdziale 4.

---

[REDACTED]

### 3. WYNIKI

W niniejszym rozdziale przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet przy założeniu, że parykalcytol i.v. będzie finansowany w ramach programu lekowego. Przyjęto, że kryteria włączenia pacjentów do programu odpowiadać będą kryteriom zmodyfikowanego projektu programu lekowego

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

W scenariuszu prognozowanym przedstawiono wydatki, jakie musiałby ponieść płatnik w przypadku pozytywnej decyzji o finansowaniu parykalcytolu i.v. w ramach programu lekowego, a także wydatki na hemodializy i hospitalizacje w populacji docelowej.

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

#### 3.1. Populacja docelowa

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] (Tabela 13).

Tabela 13.  
Liczebność populacji docelowej

[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

#### 3.2. Scenariusz aktualny

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

Całkowite wydatki płatnika (obejmujące koszty leków, dializoterapii, monitorowania i hospitalizacji) związane z leczeniem pacjentów kwalifikujących się do programu lekowego wyniosą ok.

[REDAKTOWANE]

(Tabela 14).

**Tabela 14.**  
**Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu aktualnym**



### 3.3. Scenariusz prognozowany

Przy założeniu, że [redacted] docelowej stosować będzie parykalcytol, przewidywane wydatki płatnika publicznego związane ze stosowaniem tego leku w ramach programu lekowego wyniosą [redacted]

Całkowite wydatki płatnika (obejmujące koszty leków, dializoterapii, monitorowania i hospitalizacji) związane z leczeniem wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek w populacji docelowej wyniosą [redacted] (Tabela 15).

Przy założeniu, że [redacted] i TPZ wyniosą ok. **30,8 mln zł** w 2013 roku i ok. **33,4 mln zł** w 2015 roku.

Całkowite wydatki płatnika (obejmujące koszty leków, dializoterapii, monitorowania i hospitalizacji) związane z leczeniem wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek w populacji docelowej wyniosą [redacted] (Tabela 15).











## 5. ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA

### 5.1. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

[REDAKTOWANE]  
[REDAKTOWANE]  
[REDAKTOWANE]  
[REDAKTOWANE]. Stosowanie parykalcytolu i.v. nie wymaga żadnych dodatkowych środków ostrożności w ośrodkach prowadzących aktualnie leczenie wtórnej nadczynności przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek.

Podjęcie decyzji o finansowaniu parykalcytolu i.v. ze środków publicznych nie powinno spowodować istotnych konsekwencji w wydatkach publicznych w sektorach innych niż ochrona zdrowia, dlatego też nie przeprowadzano oddzielnej analizy w tym zakresie.

### 5.2. Aspekty etyczne i społeczne

Podjęcie pozytywnej decyzji o finansowaniu parykalcytolu i.v. zwiększyłyby dostępność opcji terapeutycznych pacjentom z wtórną nadczynnością przytarczyc.

Eksperti z zakresu nefrologii klinicznej wskazują, iż jednym z problemów leczenia chorych z wtórną nadczynnością przytarczyc związaną z przewlekłą chorobą nerek jest niestosowanie się pacjentów do zaleceń lekarzy (niskie *compliance*). Dotyczy to w szczególności przyjmowania leków wydawanych do stosowania w domu pacjenta (leki w postaci doustnej). Finansowanie parykalcytolu i.v. (w postaci roztworu do wstrzykiwań) pozwoliłoby, przynajmniej częściowo, zaradzić temu zjawisku. Parykalcytol i.v. podawany jest w trakcie dializy, co, z korzyścią dla pacjentów, przekładałoby się na wysokie *compliance*.

**Tabela 19.**  
**Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji polegającej na finansowaniu parykalcytolu i.v. ze środków publicznych**

Kryterium	Ocena
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle wyników analizy kosztów efektywności</b>	
Czy koszty efektywności różnią się w poszczególnych podgrupach?	
Grupy pacjentów, które mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej	Założenia przyjęte w analizie ekonomicznej nie faworyzują żadnej grupy pacjentów.
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów społecznych</b>	
Zapewnienie równości dostępu pacjentów o zbliżonych potrzebach do badanej technologii	
Zaspakajanie niezaspokojonych dotychczas potrzeb grup społecznie upośledzonych	Finansowanie parykalcytolu i.v. zwiększy liczbę opcji terapeutycznych możliwych do zastosowania u pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc związaną z przewlekłą chorobą nerek.
Odpowiedź na potrzeby osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia	
Zgodność z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Finansowanie technologii jest zgodne z obowiązującym prawem.
Wpływ na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Zbliżona do innych technologii stosowanych w nefrologii.
<b>Ocena wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej w świetle aspektów etycznych</b>	
Wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Wprowadzenie tej metody terapeutycznej może zwiększyć satysfakcję pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej.
Ryzyko niezaakceptowania terapii przez poszczególnych chorych	Ryzyko niezaakceptowania terapii przez pacjentów jest niewielkie i prawdopodobnie jedynie w przypadku wystąpienia działań niepożądanych.
Możliwość stygmatyzacji chorych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość wywoływania lęku	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość powodowania dylematów moralnych	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Możliwość stwarzania problemów dotyczących płci lub rodzinnych.	Zbliżona do obecnie stosowanych metod terapii.
Konieczność szczególnego informowania lub uzyskiwania zgody pacjenta na podanie parykalcytolu i.v.	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.
Potrzeba zapewnienia pacjentowi niekrępujących warunków lub poufności przy podaniu parykalcytolu i.v.	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.
Potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze terapii	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.
Potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji pacjenta przy wyborze terapii	Identyczna jak dla obecnie stosowanych metod.

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

## 7. PODSUMOWANIE I WNIOSKI

W analizie wpływu na budżet przedstawiono przewidywane wydatki płatnika publicznego związane z leczeniem wtórnej nadczynności przytarczyc związanej w przewlekłą niewydolnością nerek w populacji docelowej, w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu parykalcytolu i.v. ze środków publicznych w u pacjentów hemodializowanych w ramach programu lekowego. Populacja docelowej została zdefiniowana w oparciu o kryteria włączenia do projektu programu lekowego dla parykalcytolu, w wersji po uzgodnieniach z Ministerstwem Zdrowia oraz konsultantem krajowym.

Wprowadzenie refundacji parykalcytolu i.v. [REDACTED]

Prawdopodobne jest, że populacja kwalifikująca się do programu lekowego będzie [REDACTED] oszacowania w niniejszej analizie ze względu [REDACTED] [REDACTED]

### Populacja

Oszacowana liczebność populacji zgodnej ze wskazaniem rejestracyjnym wynosi [REDACTED]

Liczebność populacji docelowej wynosi [REDACTED] roku.

Obecnie parykalcytol i.v. stosowany jest przez ok [REDACTED] osób.

## Wpływ na budżet

W scenariuszu aktualnym wydatki płatnika publicznego na leki [REDACTED]

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

W scenariuszu prognozowanym przy założeniu rozpowszechnienia parykalcytolu i.v. na poziomie

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

W scenariuszu prognozowanym przy założeniu rozpowszechnienia parykalcytolu i.v. [REDACTED]

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

Oszacowane całkowite wydatki inkrementalne przy założeniu rozpowszechnienia parykalcytolu i.v. na poziomie [REDACTED]

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED]

## Analiza wrażliwości

Wyniki jednokierunkowych analiz wrażliwości wskazują, że niezależnie od przyjętych założeń refundacja parykalcytolu i.v. powoduje [REDACTED]

[REDACTED]  
[REDACTED]

## 8. DYSKUSJA

Celem przedstawionej analizy wpływu na budżet była prognoza wydatków płatnika publicznego w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu parykalcytolu i.v. ze środków publicznych u pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc w przebiegu schyłkowej niewydolności nerek oraz porównanie ich z aktualnie ponoszonymi wydatkami na leczenie tej populacji pacjentów.

W analizie przyjęto, że parykalcytol i.v. będzie finansowany w ramach programu lekowego, którego treść została uzgodniona z Ministerstwem Zdrowia i krajowym konsultantem. [REDACTED]

[REDACTED]

Liczebność populacji docelowej została oszacowana na podstawie danych z raportów o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce w latach 2002-2008 oraz wyników badania ankietowego przeprowadzonego w 2009 i 2011 r. wśród lekarzy nefrologów przyjmujących pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc. Dane o stanie leczenia nerkozastępczego, pochodzące z Polskiego Rejestru Nefrologicznego, opracowywane są przez Grupę Roboczą pod kierownictwem Krajowego Konsultanta w dziedzinie nefrologii. Dane te cechują się więc bardzo wysoką wiarygodnością. Wydaje się zatem, że liczba pacjentów przewlekle hemodializowanych z powodu schyłkowej niewydolności nerek, z wtórną nadczynnością przytarczyc [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Jest to wartość uzyskana z badania opinii, a zatem jest wartością niepewną. W związku z powyższym wpływ tego parametru na wyniki analizy sprawdzono w analizie wrażliwości. [REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

Ogółem, zgodnie z przeprowadzoną prognozą, [Redacted text] (zgodnie z protokołem z posiedzenia 10/2008 Rady Konsultacyjnej AOTM z dnia 21 lipca 2008 roku).

[Redacted text block]

[Redacted text] Informacje przedstawione w sprawozdaniu z działalności NFZ za II kwartał 2011 r. nie dostarczają danych



odpowiednich do oszacowania liczebności populacji docelowej, niemniej jednak wydają się być zgodne z oszacowaną w analizie liczebnością populacji docelowej.

[Redacted text block]

Wyniki uzyskane zarówno w przypadku wariantów analizy podstawowej, jak i analiz wrażliwości wskazują, że wprowadzenie finansowania parykalcytolu i.v. [Redacted] pacjentów z wtórną nadciśnością przytarczyc. [Redacted]

W scenariuszu aktualnym podstawowej analizy koszty refundacji [Redacted]

[Redacted] Takie powody rozbieżności wydają się potwierdzać dane NFZ za II kwartał 2011 roku, w którym liczba pacjentów leczonych w programie była zbliżona do oszacowań przedstawionych w niniejszym opracowaniu, a mimo to zużycie leków za 2011 roku jest znacznie niższe niż w przeprowadzonych prognozach.

## 9. OGRANICZENIA

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

## 10. BIBLIOGRAFIA

1. [REDACTED]
2. Rutkowski B, Lichodziejewska-Niemierko M, Grenda R, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2008*. Gdańsk 2010.
3. Szczeklik A. *Choroby wewnętrzne*. Kraków 2005.
4. Chudzinski W, Nawrot I. Obraz kliniczny i diagnostyka nadczynności przytarczyc. *Med Sci Rev Chir Endokrynol*. 2006; 1:27–33.
5. Hörl WH. Secondary hyperparathyroidism: present and future therapeutic implications. *Nephrology, Dialysis, Transplantation: Official Publication of the European Dialysis and Transplant Association - European Renal Association*. 2002; 17(5):732–733.
6. Ganesh SK, Stack AG, Levin NW, et al. Association of elevated serum PO(4), Ca x PO(4) product, and parathyroid hormone with cardiac mortality risk in chronic hemodialysis patients. *Journal of the American Society of Nephrology: JASN*. 2001; 12(10):2131–2138.
7. Nowicki M, Rutkowski B, Czekalski S. Zalecenia Grupy Roboczej Zespołu Krajowego Konsultanta Medycznego w dziedzinie nefrologii dotyczące rozpoznawania i leczenia zaburzeń gospodarki wapniowo-fosforanowej u pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek -uaktualnienie 2007. *Nefrologia i Dializoterapia Polska*. 2007; 11(2):45–52.
8. [REDACTED]
9. [REDACTED]
10. Zarządzenie Nr 59/2011/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 października 2011 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=4622> (14.12.2011).
11. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 5 kwietnia 2012 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 maja 2012 r. <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=q101&ms=&ml=pl&mi=&mx=0&mt=&my=0&ma=019796> (2.8.2012).
12. Zemplar 5 mcg/ml - Charakterystyka Produktu Leczniczego. [www.abbott.pl/download.php?file=ai/zemplar\\_5\\_mcgml\\_charakterystyka\\_produkту\\_leczniczego\\_05.2011v47.pdf](http://www.abbott.pl/download.php?file=ai/zemplar_5_mcgml_charakterystyka_produkту_leczniczego_05.2011v47.pdf) (14.12.2011).
13. [REDACTED]
14. [REDACTED]
15. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 28 czerwca 2012 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2012 r. <http://www.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=&ms=&ml=pl&mi=&mx=0&mt=&my=&ma=20309> (29.6.2012).
16. Rutkowski B, Lichodziejewska-Niemierko M, Grenda R, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2006*. Gdańsk 2008.
17. Rutkowski B, Grenda R, Czekalski S, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2003*. Gdańsk 2004.
18. Rutkowski B, Grenda R, Czekalski S, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2004*. Gdańsk 2005.
19. Rutkowski B, Grenda R, Czekalski S, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2005*. Gdańsk 2006.
20. [REDACTED]
21. [REDACTED]

- [REDACTED]
- [REDACTED]
23. Rutkowski B, Grenda R, Czekalski S, et al. *Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce – 2002*. Gdańsk 2003.
  24. Roczne sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2010 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=4494&b=1&szukana=sprawozdanie> (20.10.2011).
  25. Agencja Oceny Technologii Medycznych, Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), Warszawa, kwiecień 2009. [http://www.aotm.gov.pl/assets/files/wytyczne\\_hta/2009/09.05.29\\_wytyczne\\_HTA\\_pl\\_MS.pdf](http://www.aotm.gov.pl/assets/files/wytyczne_hta/2009/09.05.29_wytyczne_HTA_pl_MS.pdf) (25.11.2009).
  26. Zarządzenie Nr 67/2011/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 18 października 2011 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju świadczenia zdrowotne kontraktowane odrębnie. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=4632> (15.12.2011).
  27. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. <http://isap.sejm.gov.pl/Download?id=WDU20111220696&type=2>.

- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
- [REDACTED]
31. Billa V, Zhong A, Bargman J, et al. High prevalence of hyperparathyroidism among peritoneal dialysis patients: a review of 176 patients. *Peritoneal Dialysis International: Journal of the International Society for Peritoneal Dialysis*. 2000; 20(3):315–321.
  32. Gupta A, Kallenbach LR, Zasuwa G, et al. Race is a major determinant of secondary hyperparathyroidism in uremic patients. *Journal of the American Society of Nephrology: JASN*. 2000; 11(2):330–334.
  33. Johansen KL, Chertow GM. Chronic kidney disease mineral bone disorder and health-related quality of life among incident end-stage renal-disease patients. *Journal of Renal Nutrition: The Official Journal of the Council on Renal Nutrition of the National Kidney Foundation*. 2007; 17(5):305–313.
  34. Owda A, Elhwairis H, Narra S, et al. Secondary hyperparathyroidism in chronic hemodialysis patients: prevalence and race. *Renal Failure*. 2003; 25(4):595–602.
  35. Salem MM. Hyperparathyroidism in the hemodialysis population: a survey of 612 patients. *American Journal of Kidney Diseases: The Official Journal of the National Kidney Foundation*. 1997; 29(6):862–865.
  36. Samokhvalova NA, Romanchishen AF, Gerasimchuk RP, et al. [Secondary hyperparathyroidism: incidence, clinical presentations, treatment]. *Vestnik Khirurgii Imeni I. I. Grekova*. 2007; 166(5):78–81.
  37. Sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za II kwartał 2011 r. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=4590&b=1&szukana=sprawozdanie> (28.10.2011).
  38. badania wtroby.pdf (Obiekt application/pdf). <http://www.zdrowieapteka.pl/linki/nz/artykuly/badania%20watroby.pdf> (2.8.2012).
  39. HCV Prometeusze. [http://www.prometeusze.pl/badania\\_biochemiczne.php](http://www.prometeusze.pl/badania_biochemiczne.php) (2.8.2012)

- [REDACTED]
41. Regidor DL, Kovesdy CP, Mehrotra R, et al. Serum alkaline phosphatase predicts mortality among maintenance hemodialysis patients. *Journal of the American Society of Nephrology: JASN*. 2008; 19(11):2193–2203.
  42. Common laboratory values: CBC, electrolytes, lipoproteins, albumin, wbc with differential etc. <http://www.globalrph.com/labs.htm> (2.8.2012).

43. ALP - blood test: MedlinePlus Medical Encyclopedia.  
<http://www.nlm.nih.gov/medlineplus/ency/article/003470.htm> (2.8.2012).
44. Blood Test Results with Normal Range Reference Chart - BloodBook, Blood Information for Life.  
<http://www.bloodbook.com/ranges.html> (2.8.2012).

[REDACTED]

[REDACTED]

## 11. SPIS TABEL

Tabela 1.	Zalecane zakresy stężeń parathormonu dla chorych z PChN.....	10
Tabela 2.	Zalecane zakresy stężeń PTH, Ca i P w poszczególnych stadiach przewlekłej choroby nerek [7].....	11
Tabela 3.	Dawkowanie parykalcytolu i.v. ....	13
	.....	15
Tabela 5.	Dane źródłowe uwzględnione w analizie.....	16
	.....	
	.....	
	.....	
Tabela 9.	Dane sprzedażowe i udziały rynkowe .....	22
	.....	
	.....	24
Tabela 11.	Zużycie zasobów w analizie wpływu na budżet.....	25
Tabela 12.	Ceny jednostkowe uwzględnione w analizie wpływ na budżet.....	26
Tabela 13.	Liczebność populacji docelowej .....	28
Tabela 14.	Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu aktualnym .....	29
Tabela 15.	Wydatki płatnika publicznego w scenariuszu prognozowanym .....	30
Tabela 16.	Wydatki inkrementalne .....	31
Tabela 17.	Opis wariantów analizy wrażliwości .....	32
Tabela 18.	Wyniki analizy wrażliwości .....	33
Tabela 19.	Podsumowanie wyników analizy aspektów etycznych i społecznych decyzji polegającej na finansowaniu parykalcytolu i.v. ze środków publicznych.....	35
	.....	
	.....	
Tabela 22.	Liczba pacjentów dializowanych w dniu 31 grudnia w Polsce w latach 2002-2008.....	52
Tabela 23.	Prognoza liczby pacjentów przewlekle dializowanych na lata 2013-2015.....	52
Tabela 24.	Badania szacujące epidemiologię wtórnej nadczynności przytarczyc.....	54
Tabela 25.	Poziom iPTH u pacjentów dializowanych w Polsce w latach 2003–2008.....	55
	.....	
	.....	
	.....	
	.....	
Tabela 29.	Dane sprzedażowe IMS wyrażone w mg/μg .....	59
	.....	
	.....	
	.....	

## 12. ANEKS

### 12.1. Populacja docelowa

Parykalcytol w postaci roztworu do wstrzykiwań wskazany jest w zapobieganiu i leczeniu wtórnej nadczynności przytarczyc u pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek poddawanych hemodializom [12]. W analizie założono, że parykalcytol będzie finansowany w ramach programu lekowego.

Projekt programu lekowego [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

### 12.1.1. Źródła danych

Przy szacowaniu liczebności populacji docelowej korzystano z następujących źródeł danych:

[REDACTED]

#### Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce

„Raport o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce” jest publikacją wydawaną corocznie przez Zespół Konsultanta Krajowego w dziedzinie nefrologii. Dane do raportu zbierane są z ośrodków hemodializ przy pomocy programu elektronicznego w ramach Polskiego Rejestru Nefrologicznego. Ze względu na konieczność weryfikacji danych raporty publikowane [REDACTED].

W raportach szczegółowo analizowane są aspekty związane z leczeniem nerkozastępczym w Polsce w podziale na hemodializy, dializy otrzewnowe, dializy otrzewnowe u dzieci, dializoterapię u dzieci, transplantację nerki, zaburzenia gospodarki wapniowo-fosforanowej.

[REDACTED]

[REDACTED] leczenie pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc w przebiegu przewlekłej niewydolności nerek. Wynik badania przedstawiono w Tabeli 21.

Dane osobowe i teleadresowe ekspertów przedstawiono w kolejnej tabeli (Tabela 20).







## Badanie ankietowe przeprowadzone [REDACTED]

[REDACTED]

Dane z badania użyte w niniejszym raporcie mogą odbiegać od danych zaprezentowanych w raporcie z badania ze względu na zastosowanie średniej ważonej zamiast średniej arytmetycznej (jak w raporcie).

## Uchwały i stanowiska Rady Konsultacyjnej AOTM

W analizie skorzystano z następujących dokumentów wydanych przez AOTM:

[REDACTED]

Informacje zawarte w cytowanych dokumentach przedstawiono w dyskusji.

## Badania epidemiologiczne

Przeszukano bazy informacji medycznych w celu odnalezienia doniesień naukowych umożliwiających oszacowanie liczebności populacji docelowej. Poszukiwano danych o chorobowości wtórnej nadczynności przytarczyc wśród pacjentów dializowanych. W wyniku przeszukania bazy MEDLINE (przez Pubmed) odnaleziono [REDACTED] w których oceniano częstość występowania WNP u pacjentów poddawanych dializom.

[REDACTED]

## 12.1.2. Analiza danych

### Schyłkowa niewydolność nerek

Schyłkową niewydolnością nerek nazywa się 5. stadium przewlekłej choroby nerek. Pacjenci ze schyłkową niewydolnością nerek w większości wymagają wdrożenia leczenia nerkozastępczego [7]. W raportach o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce podana jest liczba osób z przewlekłą niewydolnością nerek dializowanych w ciągu roku oraz liczba osób dializowany wg stanu [REDACTED]. Ze względu na fakt, że liczba osób dializowanych w ciągu całego roku jest zawyżona w stosunku do średniej liczby osób dializowanych (ze względu na zgony), obliczenia populacji oparto na liczbie osób [REDACTED].

W Tabela 22 przedstawiono liczbę pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek dializowanych wg stanu na [REDACTED]

Tabela 22.

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

Zarówno liczba pacjentów dializowanych jak i hemodializowanych w latach [REDACTED] wykazują [REDACTED]. W związku z powyższym przyjęto, że w kolejnych latach [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] zaprezentowano w Tabela 23. Wartości odpowiadające liczbie pacjentów hemodializowanych w latach [REDACTED] [REDACTED]

Tabela 23.

Prognoza liczby pacjentów przewlekłe dializowanych na lata [REDACTED]

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

## Wtórna nadczynność przytarczyc

W celu odnalezienia badań epidemiologicznych opisujących chorobowość wtórnej nadczynności przytarczyc wśród pacjentów dializowanych przeprowadzono przeszukanie bazy MEDLINE (przez PubMed).

Odnaleziono [REDACTED] badań, w których oszacowano odsetek pacjentów z WNP pośród pacjentów dializowanych. Odnalezione dane są [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] (Tabela 24).



W badaniu ankietowym przeprowadzonym na potrzeby niniejszej analizy [redacted] r. pytano respondentów m.in. o liczbę pacjentów dializowanych w ciągu miesiąca oraz liczbę pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc dializowanych w ciągu miesiąca. Odsetek osób z WNP wśród pacjentów dializowanych zawierał się w przedziale [redacted]

Ze względu na brak wiarygodnych i dokładnych danych epidemiologicznych szacujących odsetek pacjentów z wtórną nadczynnością przytarczyc wśród pacjentów z przewlekłą niewydolnością nerek oraz faktem, iż obecność wtórnej nadczynności przytarczyc jest silnie skorelowana z poziomem iPTH (przyjmuje się, że u pacjentów z [redacted] wtórna nadczynność przytarczyc [3]), w obliczeniach nie uwzględniono bezpośrednio parametru związanego z występowaniem WNP. Należy równocześnie zauważyć, że kryterium włączenia do terapeutycznego programu zdrowotnego, zgodnie [redacted]

### Poziom iPTH

Odsetek osób dializowanych, u których poziom iPTH w surowicy znajduje się powyżej [redacted] oszacowano na podstawie danych z raportów o stanie leczenia nerkozastępczego w Polsce za lata [redacted]. Dane dotyczące podziału wszystkich dializowanych w zależności od poziomu iPTH przedstawiono w Tabeli 25.

Dane z lat [redacted] wskazują na zwiększający się udział pacjentów z iPTH [redacted]

Tabela 25.  
Poziom iPTH u pacjentów dializowanych w Polsce w latach [redacted]

[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[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]

Tabela 26.

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



[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Tabela 27.

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[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 28.



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Parykalcytol w postaci roztworu do wstrzykiwań finansowany jest u pacjentów z przerostem gruczołów przytarczycznych (udokumentowanym badaniem sonograficznym) oraz efektywnością hemodializy (wskaźnik Kt/V powyżej 1,2), u których obserwuje się przynajmniej jedno z poniższych:

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Zakładając, że grupy pacjentów z niekontrolowaną nadczynnością przytarczyc i nowotworem gruczołów przytarczycznych są mało liczne i biorąc pod uwagę stosunek liczebności populacji Polski [Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tabela 29.

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

Dane NFZ

[Redacted text block]

**Tabela 30.**

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Analizie poddano również informacje zawarte w Sprawozdaniu z działalności NFZ za II kwartał 2011 r. [32] dotyczące liczby pacjentów [REDACTED] [REDACTED] (szczegóły w Tabela 30).

**Tabela 31.**

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

Przedstawione w powyższej tabeli dane nie umożliwiają jednoznacznego oszacowania liczby pacjentów objętych programem [REDACTED] [REDACTED], przy założeniu, że raportowane dla poszczególnych jednostek organizacyjnych dane dotyczą różnych pacjentów (żadnemu z pacjentów lek nie był podawany w więcej niż jednej komórce organizacyjnej). Z drugiej strony, biorąc pod uwagę, [REDACTED] [REDACTED] wydaje się być liczba pacjentów, którym lek podawany był w czasie pobytu [REDACTED] [REDACTED]. Przy takich założeniach, liczba [REDACTED]

pacjentów leczonych w [REDACTED]  
[REDACTED]

Innym ograniczeniem zaprezentowanych w Tabela 30 danych jest fakt, że uwzględniają one wszystkich pacjentów, którzy [REDACTED]

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

Podsumowując, informacje przedstawione w Sprawozdaniu z działalności NFZ za II kwartał 2011 r. nie dostarczają danych odpowiednich do oszacowania liczebności populacji refundacyjnej.

### 12.1.3. Synteza danych

Liczebność populacji docelowej wyznaczono na podstawie danych opisanych w poprzednich rozdziałach, w oparciu o kryteria włączenia do terapeutycznego programu zdrowotnego. Prognoza liczebności [REDACTED]

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

Schemat obliczeń liczebności populacji docelowej przedstawiono w Tabela 32.

Tabela 32.

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