



**Analiza wpływu na system ochrony zdrowia decyzji o
finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego
VPRIV[®] w leczeniu choroby Gauchera typu 1 w Polsce**



Kraków, sierpień 2013



Ekspertyzę opracowano na zlecenie firmy

Shire Polska Sp. z o.o.
Warsaw Financial Center
ul. Emilii Plater 53
00-113 Warszawa

Adres korespondencyjny

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. komandytowa
Os. Mozarta 1/29
31 - 232 Kraków
e-mail: centrumhta@centrumhta.com
telefon: 0 607 345 792

[Redacted text block]

Konflikt interesów

Opracowanie wykonane na zlecenie i finansowane przez Shire Polska Sp. z o.o.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Spis treści

Indeks akronimów wykorzystanych w opracowaniu	4
Kluczowe informacje z analizy.....	6
Streszczenie	8
1. Cel analizy wpływu na budżet	11
2. Problem decyzyjny	12
3. Metody przeprowadzania analizy wpływu na budżet.....	13
3.1. Oceniana interwencja	13
3.2. Wnioskowany sposób finansowania ze środków publicznych.....	14
3.3. Perspektywa analizy.....	14
3.4. Horyzont czasowy analizy.....	14
3.5. Porównywane scenariusze.....	15
3.6. Charakterystyka i liczebność analizowanej populacji.....	17
3.7. Analiza wpływu na skutki zdrowotne	22
3.8. Wydatki i przychody budżetowe.....	22
3.9. Metody analizy wrażliwości	31
3.10. Podsumowanie	32
4. Wyniki analizy wpływu na budżet.....	35
4.1. Wyniki analizy podstawowej	35
4.2. Wyniki analizy zużytych zasobów	55
4.3. Wyniki analizy wpływu na skutki zdrowotne	60
4.4. Wyniki analizy wrażliwości.....	60
5. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....	79
6. Aspekty etyczne i społeczne	80
7. Dyskusja	83
8. Wnioski końcowe	87
9. Bibliografia	88
10. Aneks.....	90
10.1. Metody przeprowadzenia badania kwestionariuszowego	90
10.2. Wyniki badania kwestionariuszowego.....	96
Spis tabel	98
Spis rysunków	101

Indeks akronimów wykorzystanych w opracowaniu

Akronim	Rozwinięcie skrótu (pełna nazwa) Polski odpowiednik
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
AWMSG	ang. <i>All Wales Medicines Strategy Group</i> ; Walijska Agencja Oceny Technologii Medycznych
CADTH	ang. <i>Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health</i> ; Kanadyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych
DEXA	ang. <i>dual-energy x-ray absorptiometry</i> ; metoda podwójnej absorpcjonometrii energii
EEG	elektroencefalogram
ERT	ang. <i>enzyme replacement therapy</i> ; enzymatyczna terapia zastępcza
GUS	Główny Urząd Statystyczny
HAS	franc. <i>Haute Autorite de Sante</i> ; Francuska Agencja Oceny Technologii Medycznych
HTA	ang. <i>Health Technology Assessment</i> ; Ocena Technologii Medycznych
IQWiG	niem. <i>Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen</i> ; Niemiecka Agencja Oceny Technologii Medycznych
MRI	magnetyczny rezonans jądrowy
MZ	Ministerstwo Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NICE	ang. <i>National Institute for Health and Clinical Excellence</i> ; Brytyjska Agencja Oceny Technologii Medycznych
NIH	ang. <i>National Institutes of Health</i> ; Narodowy Instytut Zdrowia
PBAC	ang. <i>Pharmaceutical Benefits Advisory Committee</i> ; Komitet Doradztwa Korzyści Farmaceutycznych

Kluczowe informacje z analizy

- ❖ Celem niniejszej analizy jest ocena wpływu na budżet państwa publicznego podjęcia decyzji o finansowaniu stosowania preparatu welaglucerazy alfa (VPRIV®) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera” w leczeniu pacjentów cierpiących na typ 1 choroby Gauchera.
- ❖ Jako aktywny komparator ocenianej interwencji (welagluceraza; VPRIV®) wybrano jedyną finansowaną obecnie ze środków publicznych w leczeniu pacjentów cierpiących na typ 1 choroby Gauchera substancję aktywną, imiglucerazę (Cerezyme®).
- ❖ W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy państwa publicznego ponoszone w ramach terapii pacjenta chorującego na typ 1 choroby Gauchera leczonego w ramach programu lekowego w przypadku braku finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej („scenariusz istniejący”) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji, gdy stosowanie produktu leczniczego VPRIV® w leczeniu analizowanych pacjentów będzie uwzględnione w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera” („nowy scenariusz”); w ramach tego scenariusza założono, że pacjenci będą leczeni produktem leczniczym Cerezyme®.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

- ❖ Nie zaobserwowano prawnych, społecznych ani finansowych przeszkód w finansowaniu preparatu welaglucerazy alfa.

Streszczenie

Celem analizy wpływu na budżet jest ocena konsekwencji finansowych z perspektywy płatnika publicznego w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV® ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) przy założeniu finansowania jego stosowania w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8] w porównaniu do aktualnie stosowanej praktyki klinicznej, w której produkt leczniczy VPRIV® nie jest finansowany ze środków publicznych w ww. wskazaniu.

Choroba Gauchera jest rzadkim schorzeniem genetycznym, dziedzicznym autosomalnie recesywnie. Jest ona zaliczana do lizosomalnych chorób spichrzeniowych (tezauryzmoz), które obejmują ponad 40 różnych, genetycznie uwarunkowanych chorób, spowodowanych błędem w metabolizmie [1][3]. Enzymatyczna terapia zastępcza (ang. *enzyme replacement therapy*, ERT) jest jedną z kilku opcji terapeutycznych w leczeniu przyczynowym choroby Gauchera. W chwili obecnej (sierpień 2013 roku) imigluceraza (Cerezyme®) jest finansowana ze środków publicznych w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8]. Ze środków publicznych refundowane jest leczenie pacjentów z 1 oraz 3 typem choroby Gauchera.

[REDACTED]

W ramach analizy porównano nakłady finansowe płatnika publicznego z tytułu finansowania terapii stosowanych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w przypadku braku finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego VPRIV® (scenariusz istniejący) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji, gdy zostanie podjęta decyzja o finansowaniu jego stosowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera” [8] (nowy scenariusz).

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Z populacji docelowej zostały wyłączone dzieci poniżej drugiego życia, ponieważ typ I choroby Gauchera dotyczy głównie osób dorosłych, zdecydowanie rzadziej występuje u dzieci [11]. W związku z powyższym przyjęto, że w programie lekowym „Leczenie choroby Gauchera” nie są leczone dzieci poniżej 2 roku życia (założenie zgodne z proponowanym opisem Programu lekowego).

W ramach niniejszej analizy uwzględniono następujące kategorie kosztów bezpośrednich medycznych:

- koszt substancji aktywnej (imigluceraza albo welagluceraza alfa),
- koszt podawania substancji aktywnej,
- koszt badań w formie rocznego ryczałtu za diagnostykę,
- koszt dodatkowych wizyt monitorujących stan pacjenta.

Nie zidentyfikowano kosztów żadnych innych kategorii kosztowych.

Dane kosztowe zebrano na podstawie aktualnie obowiązującego obwieszczenia Ministra Zdrowia [20], zarządzenia prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia [19], informatora o umowach Narodowego Funduszu Zdrowia [21] oraz badania kwestionariuszowego wśród ekspertów klinicznych.

W ramach analizy podstawowej rozpatrzono trzy scenariusze:

- neutralny – zakładający najbardziej prawdopodobną populację (stałą liczbę pacjentów),
- minimalny – zakładający, że liczba pacjentów w programie lekowym zmniejsza się o 2 pacjentów rocznie
- maksymalny – zakładający, że liczba pacjentów w programie lekowym zwiększa się o 2 pacjentów rocznie.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Po przeprowadzeniu analizy wrażliwości oraz skonfrontowaniu jej wyników z wynikami analizy ekonomicznej oraz analizy klinicznej można stwierdzić, że nie zaobserwowano przesłanek do zmiany wnioskowania w obliczu zmian wartości parametrów niepewnych.

1. Cel analizy wpływu na budżet

Celem analizy wpływu na budżet jest ocena konsekwencji finansowych z perspektywy płatnika publicznego i pacjenta w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV[®] ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) przy założeniu finansowania jego stosowania w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8] w porównaniu do aktualnie stosowanej praktyki klinicznej, w której produkt leczniczy VPRIV[®] nie jest finansowany ze środków publicznych w ww. wskazaniu.

2. Problem decyzyjny

Enzymatyczna terapia zastępcza (ang. *enzyme replacement therapy*, ERT) jest jedną z kilku opcji terapeutycznych w leczeniu choroby Gauchera. W Polsce w enzymatycznej terapii zastępczej choroby Gauchera dostępny (sierpień 2013) jest jedynie preparat Cerezyme® (imigluceraza). Jednak, pomimo dużej skuteczności leczenia, część pacjentów nie osiąga wyznaczonych celów terapeutycznych, zwłaszcza w odniesieniu do zmian kosztowych. Większy wybór opcji terapeutycznych dawałby możliwość uzyskania lepszych wyników leczenia przez tych pacjentów oraz pozwalałby na leczenie chorych, którzy nie mogą przyjmować imiglucerazy [2][6][12].

W chwili obecnej (sierpień 2013 roku) imigluceraza jest finansowana ze środków publicznych w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [19], do którego kwalifikują się osoby w 1 i 3 typem choroby. Pacjenci cierpiący na typ 2 objęci są jedynie opieką paliatywną.

Obecnie (sierpień 2013 roku) welagluceraza alfa (VPRIV®) nie jest finansowana ze środków publicznych ani stosowana w terapii choroby Gauchera w Polsce. Podmiot odpowiedzialny, wnioskując o objęcie produktu leczniczego VPRIV® (opakowanie 400 j.m.) finansowaniem ze środków publicznych w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [19], co spowodowałoby poszerzenie dostępu pacjentów do skutecznych opcji terapeutycznych w ww. wskazaniu (w porównaniu do sytuacji aktualnej, kiedy pacjenci otrzymują jedynie imiglucerazę w ramach długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej) oraz przejęcie przez VPRIV® części pacjentów z chorobą Gauchera (z typem 1 choroby) leczonych z wykorzystaniem dotychczas stosowanej opcji terapeutycznej (imigluceraza) we wspomnianym wskazaniu.

3. Metody przeprowadzania analizy wpływu na budżet

Przeprowadzona analiza pozwoli ocenić wpływ na system ochrony zdrowia w Polsce podjęcia decyzji dotyczącej finansowania ze środków publicznych w ramach Katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych terapii pacjentów chorujących na typ 1 choroby Gauchera z wykorzystaniem produktu leczniczego VPRIV®.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych przygotowanego przez Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. komandytowa [18].

W ramach analizy porównano nakłady finansowe z perspektywy płatnika publicznego ponoszone w enzymatycznej terapii zastępczej w leczeniu pacjenta cierpiącego na typ 1 choroby Gauchera w przypadku braku finansowania ze środków publicznych ocenianej technologii lekowej („**scenariusz istniejący**”) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji, gdy stosowanie produktu leczniczego VPRIV® w leczeniu analizowanych pacjentów będzie uwzględnione w ramach programu lekowego "Leczenie choroby Gauchera" [8] („**nowy scenariusz**”).

Charakter populacji docelowej dla ocenianej technologii lekowej określono z wykorzystaniem wyników badania kwestionariuszowego, zarejestrowanych wskazań do stosowania preparatu VPRIV® [7] oraz aktualnego kształtu programu lekowego "Leczenie choroby Gauchera" [8].

Oceny konsekwencji finansowych dla płatnika publicznego podjęcia decyzji o umieszczeniu ocenianej technologii lekowej w Katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych dokonano w ramach trzech scenariuszy różniących się wielkością docelowej populacji dla ocenianej technologii lekowej (neutralny, minimalny, maksymalny).

3.1. Oceniana interwencja

Analizowaną interwencją jest zastosowanie preparatu welaglucerazy alfa (VPRIV® fiołka 400 j.m.) u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii), poddanych długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej.

Welagluceraza alfa podawana jest w różnych dawkach w zależności od wagi pacjenta. Nie jest możliwe rozpatrzenie wszystkich możliwych dawek, wobec czego na potrzeby modelowania uwzględniono dwie dawki – 30 j.m./kg m.c. (dawka średnia; na podstawie opinii eksperta) oraz 60

j.m./kg m.c. (dawka maksymalna; na podstawie [7]). Każda z wyżej wymienionych dawek może być stosowana zarówno u pacjenta nieletniego (< 18 lat), jak i u pacjenta dorosłego (>= 18 lat), co w sumie daje 4 grupy pacjentów:

- pacjent dorosły leczony dawką 30 j.m./kg m.c.,
- pacjent dorosły leczony dawką 60 j.m./kg m.c.,
- pacjent nieletni leczony dawką 30 j.m./kg m.c.,
- pacjent nieletni leczony dawką 60 j.m./kg m.c.

3.2. Wnioskowany sposób finansowania ze środków publicznych

W Polsce realizowany jest program lekowy „Leczenie choroby Gauchera”, w którym pacjenci z typem 1 albo 3 choroby poddani są długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej przy użyciu preparatu Cerezyme® (imigluceraza; 400 j.m.; grupa limitowa: 1065.0, Imiglucerasum).

Podmiot odpowiedzialny wnioskuje o objęcie preparatu VPRIV® (welagluceraza alfa; 400 j.m.) refundacją w ramach Katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych i stosowanie rzeczonoego produktu leczniczego obok Cerezyme® w programie lekowym „Leczenie choroby Gauchera”.

3.3. Perspektywa analizy

Zgodnie z Wytycznymi dla przeprowadzania ocen technologii medycznych [16] oraz minimalnymi wymaganiami Ministra Zdrowia [22], podstawową perspektywą ekonomiczną analizy jest perspektywa płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia) i pacjenta. W niniejszym opracowaniu wszystkie koszty są kosztami z perspektywy płatnika publicznego, koszty z perspektywy pacjenta wynoszą 0 zł w każdym rozpatrywanym scenariuszu i zostały pominięte w dalszej części opracowania. Przedstawiony sposób finansowania ocenianej interwencji ze środków publicznych nie uwzględnia współpłacenia pacjenta za oceniany preparat VPRIV®.

3.4. Horyzont czasowy analizy

Zgodnie z Wytycznymi dla przeprowadzania ocen technologii medycznych horyzont czasowy powinien być nie krótszy niż 2 lata oraz obejmować okres do stabilizacji rynku sprzedaży analizowanego preparatu. Na tej podstawie w niniejszym opracowaniu przyjęto horyzont czasowy analizy na poziomie 3 lat (lata 2014, 2015 i 2016) - jest to okres wystarczający do przedstawienia stabilnych kosztów

porównywanych scenariuszy oraz cen preparatów. Wynika to z faktu, iż w roku 2014 marża hurtowa osiągnie docelową, niezmienną wartość 5% [14].

3.5. Porównywane scenariusze

W ramach analizy porównano nakłady finansowe płatnika publicznego z tytułu finansowania terapii stosowanych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w przypadku braku finansowania ze środków publicznych produktu leczniczego VPRIV[®] (scenariusz istniejący) oraz wysokość tych nakładów w sytuacji, gdy zostanie podjęta decyzja o finansowaniu jego stosowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera” [19] (nowy scenariusz).

Obecnie (sierpień 2013 roku) welagluceraza alfa (VPRIV[®]) nie jest stosowana w terapii choroby Gauchera w Polsce. Jedynym dostępnym preparatem stosowanym w leczeniu choroby Gauchera w Polsce jest Cerezyme[®] (imigluceraza) finansowany w ramach katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych i dostępny w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera” [19], [20].

Tabela 1. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego na terapię preparatem Cerezyme[®].

Okres	Całkowity koszt imiglucerazy użytej na leczenie choroby Gauchera typu I w ramach programu lekowego "Leczenie Choroby Gauchera" - perspektywa p ³ atnika publicznego
A: I-VI 2012 [28]	16 466 124,95 zł (= 27 443 541,58 zł * 60%)
B: VII-XII 2012 [28]	16 012 285,05 zł (= 26 687 141,75 zł * 60%)
Rok 2012 (A+B)	32 478 410,00 zł (=16 466 124,95 zł + 16 012 285,05 zł)
C: I-IV 2013 [29]	10 769 288,93 zł (= 17 948 814,88 zł * 60%)
Rok 2013 (ekstrapolacja C)	32 307 866,78 zł (= 10 769 288,93 zł / 4 *12)

Powyższa tabela zawiera roczny koszt imiglucerazy z perspektywy płatnika publicznego stosowanej w terapii pacjentów cierpiących na typ 1. choroby Gauchera w ramach programu lekowego w latach 2012 oraz 2013. Koszt w całym roku 2013 został obliczony poprzez ekstrapolację całkowitego kosztu imiglucerazy od stycznia do końca kwietnia 2013 r. pomnożonego przez udział pacjentów z typem 1. choroby (60% - na podstawie badania kwestionariuszowego). Całkowity koszt refundacji imiglucerazy

w 2013 roku nie różni się znacząco od oszacowanego całkowitego kosztu refundacji w roku 2013, co sugeruje prawdopodobne stałe wykorzystanie preparatu Cerezyme®.

Założenia dotyczące udziału poszczególnych ocenianych preparatów w terapii choroby Gauchera typu 1 w scenariuszu istniejącym oraz nowym przedstawiono w tabelach poniżej.

[Redacted header]

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

[Redacted header]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted header]

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

[Redacted header]

[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text line]

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

[Redacted text block]

[Redacted text line]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[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]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[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 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 footer 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]

3.7. Analiza wpływu na skutki zdrowotne

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych przygotowanego przez Zespół Centrum HTA Sp. z o. o. Sp. komandytowa [18].

Ocena wiarygodności danych klinicznych została przeprowadzona zgodnie z zasadami Medycyny Opartej na Dowodach Naukowych (ang. *Evidence-Based Medicine*; EBM).

W ramach przeprowadzonej analizy klinicznej [18] stwierdzono, że stosowanie welaglucerazy alfa w leczeniu 1 typu choroby Gauchera jest tak samo skuteczne, jak stosowanie imiglucerazy. W ramach niniejszej analizy nie uwzględniono efektów zastosowania porównywanych technologii medycznych ze względu na wykazany w ramach przeglądu systematycznego badań klinicznych [18] brak istotnych różnic w efektywności klinicznej porównywanych strategii leczenia.

3.8. Wydatki i przychody budżetowe

Celem przeprowadzenia analizy wydatków i przychodów budżetowych jest zestawienie wszystkich konsekwencji kosztowych związanych z zastosowaniem obu porównywanych scenariuszy w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w Polsce. W ramach niniejszego opracowania zidentyfikowano tylko koszty bezpośrednie medyczne, nie zidentyfikowano kosztów pośrednich oraz niemedycznych.

W ramach analizy kosztów brano pod uwagę tylko te dane kosztowe, które były istotne z perspektywy płatnika publicznego. Koszty w perspektywy pacjenta zawsze wynoszą 0 zł ze względu na charakter analizowanego problemu zdrowotnego.

Dane kosztowe zebrano w okresie sierpień-listopad 2012 roku oraz dokonano ich aktualizacji w sierpniu 2013 r. Wszystkie informacje w zakresie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych są aktualne na sierpień 2013 r.

W analizie nie zastosowano dyskontowania, zgodnie z [16].

[REDACTED]

Przy ocenie kosztów z perspektywy płatnika publicznego posłużono się informacjami przedstawionymi w aktualnym Zarządzeniu Prezesa NFZ [19], Informatorze o umowach [21] oraz obwieszczeniu Ministra Zdrowia [20].

3.8.1 Zasoby uwzględnione w opracowaniu

W ramach opracowania uwzględniono zasoby zużywane w trakcie długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii). Zasoby uwzględnione w analizie związane są z kosztami z perspektywy płatnika publicznego.

Zidentyfikowano koszty różniące należące wyłącznie do kosztów bezpośrednich medycznych.

[REDACTED]

W analizie kosztów zastosowano ogólnie akceptowalne metody statystyczne i epidemiologiczne.

3.8.2. Koszty substancji czynnych stosowanych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii)

[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]

Tabela 16. Odsetek pacjentów, u których welagluceraza alfa lub imigluceraza podawane są w ramach poszczególnych typów świadczeń szpitalnych.

Rodzaj świadczenia szpitalnego	Odsetek pacjentów, u których <u>welagluceraza alfa</u> podawana jest w ramach poszczególnych typów świadczeń szpitalnych	Odsetek pacjentów, u których <u>imigluceraza</u> podawana jest w ramach poszczególnych typów świadczeń szpitalnych
Hospitalizacja związana z wykonaniem programu, kod: 5.08.07.0000001	0%	0%
Hospitalizacja związana z wykonywaniem programu u dzieci, kod: 5.08.07.0000002	0%	0%
Hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonywaniem programu, kod: 5.08.07.0000003	100%	100%
Przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu, kod: 5.08.07.0000004	0%*	0%

* w ramach analizy wrażliwości rozpatrzono sytuację, w której welagluceraza alfa podawana jest w trybie ambulatoryjnym.

Wycena punktowa przedstawionych wyżej typów świadczeń szpitalnych została przyjęta zgodnie z [8][19], natomiast koszt punktu w lecznictwie szpitalnym założono na podstawie Informatora o umowach [21] i wynosi on 52 zł/pkt.

Tabela 17. Wycena punktowa oraz koszt świadczeń szpitalnych oraz koszt punktu w lecznictwie szpitalnym.

Kategoria	Wartość
hospitalizacja w trybie jednodniowym związana z wykonywaniem programu, kod: 5.08.07.0000003	9 pkt * 52 zł/pkt = 468 zł
przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu, kod: 5.08.07.0000004	2 pkt * 52 zł/pkt = 104 zł
Koszt punktu w lecznictwie szpitalnym	52 zł

3.8.4. Koszt diagnostyki w chorobie Gauchera typu 1 (bez neuropatii)

Diagnostyka oraz monitorowanie stanu pacjenta z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) są rozliczane w ramach rozliczanego raz w roku świadczenia: diagnostyka w

programie "Leczenie choroby Gauchera", kod: 5.08.08.0000030, wycena punktowa: 27 pkt. Dodatkowo na podstawie opinii eksperta 1. założono, iż pacjent odbywa rocznie 2 hospitalizacje związane z wykonaniem dodatkowych badań diagnostycznych. W zależności od wieku pacjenta hospitalizacja może odbywać się w ramach świadczenia: Hospitalizacja związana z wykonaniem programu, kod: 5.08.07.0000001, wycena punktowa: 9 pkt w przypadku pacjentów dorosłych lub Hospitalizacja związana z wykonywaniem programu u dzieci, kod: 5.08.07.0000002, wycena punktowa: 10 pkt w przypadku pacjentów nieletnich; koszt ww. świadczeń zawiera poniższa tabela.

Tabela 18. Wycena diagnostyki oraz wizyt monitorujących stan pacjenta w programie "Leczenie choroby Gauchera".

Kategoria	Wartość
Diagnostyka w programie "Leczenie choroby Gauchera", kod: 5.08.08.0000030	27 pkt [19]
Koszt 1 punktu	52 zł [21]
Koszt jednego ryczałtu (zł)	$27 \text{ pkt} * 52 \text{ zł/pkt} = 1\,404 \text{ zł}$
hospitalizacja związana z wykonaniem programu, kod: 5.08.07.0000001	$9 \text{ pkt} * 52 \text{ zł/pkt} = 468 \text{ zł}$
hospitalizacja związana z wykonywaniem programu u dzieci, kod: 5.08.07.0000002	$10 \text{ pkt} * 52 \text{ zł/pkt} = 520 \text{ zł}$

3.9. Metody analizy wrażliwości

Ze względu na fakt, iż część parametrów wykorzystanych w analizie uznano za niepewne, przeprowadzono analizę wrażliwości, aby zweryfikować stabilność wnioskowania z analizy podstawowej, przyjmując najbardziej prawdopodobny zakres zmienności ww. parametrów.

W ramach analizy wrażliwości wyniki zaprezentowano w dwóch wariantach:

- nie uwzględniając mechanizmu *payback* w wysokości 3%,
- uwzględniając wspomniany mechanizm.

[Redacted]

[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 containing multiple paragraphs of blacked-out content]

3.10. Podsumowanie

W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet przeprowadzono oszacowanie kosztów porównywanych scenariuszy z perspektywy płatnika publicznego, w horyzoncie czasowym analizy wynoszącym 3 lata w warunkach polskich.

Poniżej przedstawiono parametry, które zostały wykorzystane w niniejszym opracowaniu.

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

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

4. Wyniki analizy wpływu na budżet

[REDACTED]

4.1. Wyniki analizy podstawowej

W tabelach poniżej przedstawiono wyniki analizy wpływu na budżet płatnika publicznego, w tym: całkowite nakłady płatnika publicznego z tytułu realizacji scenariusza istniejącego oraz scenariusza nowego w 3 kolejnych latach od podjęcia decyzji o finansowaniu ze środków publicznych terapii produktem leczniczym VPRIV® w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8] oraz inkrementalne koszty realizacji scenariusza nowego w miejsce istniejącego.

[REDACTED]

Scenariusz neutralny

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

[Redacted text]

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

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[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 text]

[Redacted text]

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

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

4.1. Wyniki analizy podstawowej



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

4.1. Wyniki analizy podstawowej



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

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

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

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

4.1. Wyniki analizy podstawowej

[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 content]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[Redacted text]

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

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

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

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

[Large redacted block]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

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

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

4.3. Wyniki analizy wpływu na skutki zdrowotne

Wyniki uzyskane w [18] wykazały, że welagluceraza alfa jest równie skuteczna klinicznie oraz bezpieczna w stosowaniu u dzieci i dorosłych jak jej komparator, czyli imigluceraza, w leczeniu choroby Gauchera 1 typu. Welagluceraza alfa została przebadana w różnych dawkach wynoszących 15-60 jednostek/kg masy ciała, co może ułatwić dostosowanie dawek do indywidualnych potrzeb pacjentów. Jest również mniej immunogenna od imiglucerazy, czyli w jej przypadku przeciwciała w mniejszym stopniu mogą ograniczyć aktywność preparatu oraz wywołać reakcje nadwrażliwości u pacjentów. Założono, że oba preparaty są równoważne klinicznie dlatego nie stwierdzi się realnego wpływu na wyniki zdrowotne w przypadku zastosowania preparatu VPRIV[®] zamiast Cerezyme[®].

4.4. Wyniki analizy wrażliwości

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]			[REDACTED]		
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-414 115,20 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-77 705,14 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-67 073,69 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-426 545,64 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-164 539,78 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-1 645 397,76 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	221 745,87 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	397 517,94 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	219 970,90 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	288 087,63 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	1 683 277,84 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	807 157,65 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	147 767,55 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	345 851,77 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]	2 089 680,07 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	452 210,14 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	297 353,87 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	95 177,04 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	222 128,70 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	246 809,66 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[Redacted]	[Redacted]			[Redacted]		
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 180 604,26 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 517 014,32 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 347 909,80 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 347 909,80 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	2 231 939,87 zł	[Redacted]	[Redacted]	2 231 939,87 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 558 149,19 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 083 743,09 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 028 601,31 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 787 562,63 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	5 277 997,30 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 787 561,81 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 446 951,91 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 248 867,69 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]



[REDACTED]						
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	3 013 118,82 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Large redacted text block]

[Redacted text line]

[Redacted text block]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	-267 521,09 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	13 266 630,00 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	62 379,15 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 023 407,30 zł	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text]

[Redacted text]



[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	-271 510,70 zł	[Redacted]	[Redacted]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	72 766,83 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	70 968,89 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	1 040 193,98 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]			

[Redacted text]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]			[REDACTED]		
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-509 533,33 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-183 215,57 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-167 510,98 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-526 982,93 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-231 497,97 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-2 314 979,72 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-328 490,34 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-460 030,24 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-310 828,94 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-401 714,51 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	1 524 937,92 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-890 784,50 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-251 176,11 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	-443 317,80 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

4.4. Wyniki analizy wrażliwości



[REDACTED]	2 190 117,36 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	351 772,85 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	397 791,16 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	495 614,34 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	312 522,26 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	347 246,96 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[Redacted]	[Redacted]			[Redacted]		
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 085 186,13 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 411 503,89 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 247 472,50 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 247 472,50 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	2 164 981,67 zł	[Redacted]	[Redacted]	21 649 816,69 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 451 404,71 zł	[Redacted]	[Redacted]	2 021 230,80 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	2 937 743,27 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 673 935,76 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	5 119 657,38 zł	[Redacted]	[Redacted]	2 703 934,96 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	3 343 543,35 zł	[Redacted]	[Redacted]	3 151 401,66 zł	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

4.4. Wyniki analizy wrażliwości



[REDACTED]						
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	2 922 725,25 zł	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[Redacted text block]

[Large redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

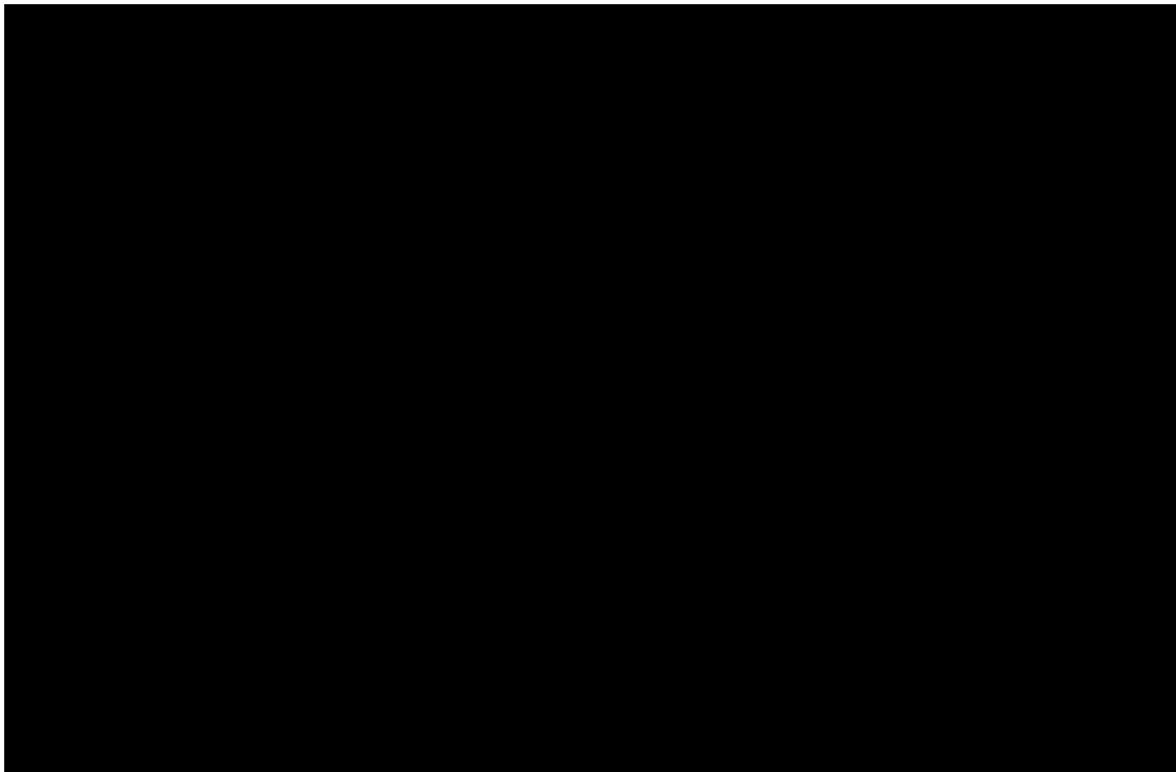
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-665 519,99 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	12 868 631,10 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	-153 081,37 zł	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	2 932 705,08 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]



[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	-371 948,00 zł	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	-178 425,41 zł	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	-174 016,83 zł	[Redacted]	[Redacted]

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED] [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	1 463 492,92 zł	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

5. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV[®] ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8] spowoduje poszerzenie dostępu pacjentów do skutecznych opcji terapeutycznych w ww. wskazaniu (w porównaniu do sytuacji aktualnej, kiedy pacjenci otrzymują jedynie imiglucerazę w ramach długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej).

Stosowanie produktu leczniczego VPRIV[®] w analizowanym wskazaniu nie nakłada szczególnych wymagań na pacjenta czy świadczeniodawcę.

Wymogi dotyczące wyposażenia placówek medycznych (sprzęt, personel i inne) w przypadku podawania welaglucerazy alfa są analogiczne, jak w przypadku imiglucerazy. Stosowanie analizowanego schematu nie wymaga zapewnienia żadnych dodatkowych środków ostrożności. W związku z tym ośrodki podające aktualnie imiglucerazę w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) będą w stanie prowadzić również terapię produktem leczniczym VPRIV[®].

Uważa się, że decyzja o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV[®] nie będzie wiązała się z dodatkowymi nakładami finansowymi ze strony płatnika publicznego z tytułu finansowania dodatkowych wymagań związanych z tą technologią medyczną (jak transport pacjenta do wysoko wyspecjalizowanego ośrodka medycznego, na wizyty czy badania związane z podawaniem ocenianego produktu leczniczego, finansowania zakupu dodatkowego sprzętu specjalistycznego, szkoleń pracowników służby zdrowia itp.).

Pozytywna decyzja odnośnie finansowania produktu leczniczego VPRIV[®] nie powinna wpłynąć na wydatki publiczne w sektorach innych niż ochrona zdrowia.

6. Aspekty etyczne i społeczne

Wyniki niniejszej analizy finansowej sugerują, że realizacja nowego scenariusza (finansowanie produktu leczniczego VPRIV® ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8]) przyniesie oszczędności z punktu widzenia płatnika publicznego.

Po szerokim przeanalizowaniu problemu zdecydowano, że decyzja o finansowaniu ze środków publicznych produktu leczniczego VPRIV® nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie stwarza konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach. Nie znaleziono również aspektów ingerujących w prawo pacjenta czy w szeroko rozumiane prawa człowieka.

Dostęp do ocenianej technologii medycznej będzie równy wśród pacjentów, u których jest ona wskazana (pacjenci z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii)).

Pozytywna decyzja o finansowaniu ocenianej technologii nie wpłynie na koszty lub wyniki dotyczące osób innych niż stosujące tę technologię.

Mając na uwadze specyfikę analizowanego stanu chorobowego, należy się spodziewać korzyści klinicznej wśród małej grupy pacjentów (do ok. 50 przypadków).

Należy uznać, że stosowanie welaglucerazy alfa stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, cierpiących na choroby ultrazadkie (pacjenci z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii)), leczonych obecnie imiglucerażą.

Rozważana w niniejszym opracowaniu decyzja nie powinna powodować problemów społecznych. Ze względu na przyjęte założenia, żadna grupa pacjentów nie będzie faworyzowana.

Pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii medycznej:

- nie grozi nieakceptowaniem postępowania pacjenta z analizowanej populacji,
- nie będzie wywoływać lęku,
- nie spowoduje ani nie zmieni stygmatyzacji,
- nie będzie generować dylematów moralnych oraz problemów dotyczących płci czy rodzinnych.

Stosowanie produktu leczniczego VPRIV[®] nie wymaga szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody poza aspektami związanymi z uczestnictwem w programie lekowym; nie wymaga również zapewnienia pacjentowi poufności postępowania.

W ramach oceny aspektów etycznych i społecznych decyzji o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV[®] ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) przy założeniu finansowania jego stosowania w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8] nie zidentyfikowano przeciwników decyzji. Do zidentyfikowanych zwolenników zalicza się osoby, które z różnych powodów nie mogą stosować imiglucerazy lub nie osiągają oczekiwanych celów terapeutycznych.

Podsumowanie wpływu finansowania produktu leczniczego VPRIV[®] w ramach Katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych na aspekty społeczne, etyczne oraz organizacyjne zostało zawarte w poniższej tabeli.

Tabela 57. Analiza SWOT.

Parametr	Wartość
Rozważana decyzja	Finansowanie ze środków publicznych stosowania produktu leczniczego VPRIV® (welaglucerazy alfa) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera”, w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w porównaniu do aktualnie stosowanej praktyki, w której produkt leczniczy VPRIV® nie jest finansowany ze środków publicznych.
Mocne strony	<ul style="list-style-type: none"> • zwiększenie różnorodności dostępnych dla pacjenta opcji terapeutycznych, • większy wybór opcji terapeutycznych pozwalałby na leczenie chorych, którzy nie mogą przyjmować imiglucerazy [2][6][12], • welagluceraza alfa jest mniej immunogenna od imiglucerazy, czyli w jej przypadku przeciwciała w mniejszym stopniu mogą ograniczyć aktywność preparatu oraz wywołać reakcje nadwrażliwości u pacjentów [18], • czas infuzji welaglucerazy (1 godzina) jest krótszy niż imiglucerazy (1-2 godziny), co oznacza, że terapia welaglucerazą alfa jest wygodniejsza dla pacjentów i oznacza dla nich oszczędność czasu, • finansowanie produktu leczniczego VPRIV® w ramach Katalogu leków refundowanych stosowanych w programach lekowych będzie wiązało się z oszczędnościami dla płatnika publicznego
Słabe strony	<ul style="list-style-type: none"> • welagluceraza alfa jest zupełnie nowym lekiem na polskim rynku, lekarze mogą podchodzić do niej z nieufnością.
Szanse	<ul style="list-style-type: none"> • brak sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi, • brak konieczności dokonania zmian w prawie/przepisach, • finansowanie zgodne z prawem pacjenta do świadczeń gwarantowanych, • zapewnienie równego dostępu do świadczeń, • zwiększenie aktualnego poziomu satysfakcji analizowanych pacjentów z otrzymanej opieki medycznej ze względu na udostępnienie pacjentowi drogiego leku, • podjęcie decyzji o finansowaniu VPRIV® ze środków publicznych nie będzie generować dylematów moralnych wśród lekarzy prowadzących terapię analizowanych pacjentów, • podjęcie decyzji o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV® nie będzie generować problemów dotyczących p³ci oraz rodzinnych, ani innych problemów spo³ecznych, • podjęcie decyzji o finansowaniu produktu leczniczego VPRIV® nie zmieni, ani nie spowoduje stygmatyzacji, zniwelowanie monopolistycznej pozycji preparatu imiglucerazy.
Zagrożenia	<ul style="list-style-type: none"> • nie zidentyfikowano.

7. Dyskusja

W ramach niniejszej analizy wpływu na budżet wykazano, że realizacja nowego scenariusza, zakładającego finansowanie produktu leczniczego VPRIV[®] ze środków publicznych w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie

[REDACTED]

[REDACTED]

Między lipcem a grudniem 2009 roku wystąpił globalny niedobór imiglucerazy do leczenia choroby Gauchera i był on spowodowany czasowym wyłączeniem z produkcji pojedynczej fabryki producenta. Na skutek tego wyłączenia światowa podaż imiglucerazy zmniejszyła się do 20% normalnego poziomu, zmuszając pacjentów na całym świecie do przerwania leczenia, zmniejszenia dawki lub rozpoczęcia leczenia alternatywnymi opcjami terapeutycznymi. Wspomniane problemy wskazują na konieczność ograniczenia ryzyka związanego z monopolistyczną pozycją preparatu Cerezyme[®] na rynku leków używanych w leczeniu choroby Gauchera.

Welagluceraza alfa (VPRIV[®]) jest jedynym preparatem używanym w enzymatycznej terapii zastępczej, wytwarzanym w kulturach ludzkich komórek, fibroblastów i którego struktura bardziej przypomina

naturalną, przez co szybciej jest wchłaniany przez komórki [7][9][10]. Jest on produkowany za pomocą techniki aktywacji genu, polegającej na celowanej rekombinacji z udziałem promotora, który aktywuje ekspresję określonego genu w komórce. Dotychczasowe badania kliniczne wskazują, że welagluceraza alfa jest dobrze tolerowana przez pacjentów i poprawia parametry hematologiczne oraz zmniejsza rozmiary śledziony i wątroby [1][4][5][7].

Preparat VPRIV® ma krótszy czas infuzji od preparatu Cerezyme®. Czas infuzji welaglucerazy alfa wynosi jedną godzinę, podczas gdy podawanie imiglucerazy trwa 1-2 godziny z uwagi na wolniejsze wchłanianie do komórek. Krótszy czas infuzji oznacza, że terapia welaglucerazą alfa jest wygodniejsza dla pacjentów i oznacza dla nich oszczędność czasu.

W chwili obecnej (sierpień 2013 roku) imigluceraza jest finansowana ze środków publicznych w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8]. Ze środków publicznych refundowane jest leczenie pacjentów z 1 oraz 3 typem choroby Gauchera, przy czym w 3 typie choroby leczenie obejmuje chorych, u których objawy neurologiczne manifestują się w postaci apraksji okoruchowej jako jedynego wykładnika zajęcia ośrodkowego układu nerwowego [8].

Obecnie (sierpień 2013 roku) welagluceraza alfa (VPRIV®) nie jest stosowana w terapii choroby Gauchera w Polsce. Podmiot odpowiedzialny za VPRIV® wnioskuje o objęcie preparatu finansowaniem ze środków publicznych w ramach świadczenia gwarantowanego „Leczenie choroby Gauchera” w zakresie programu lekowego [8], co spowodowałoby poszerzenie dostępu pacjentów do skutecznych opcji terapeutycznych w ww. wskazaniu (w porównaniu do sytuacji aktualnej, kiedy pacjenci otrzymują jedynie imiglucerazę w ramach długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej) oraz przejście przez VPRIV® części pacjentów z chorobą Gauchera leczonych z wykorzystaniem dotychczasowo stosowanej opcji terapeutycznej (imigluceraza) we wspomnianym wskazaniu.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Odsetki pacjentów przyjmujących dawkę początkową (30 j.m./kg) i maksymalną (60 j.m./kg) substancji czynnych wśród pacjentów małoletnich (poniżej 18 lat), jak i dorosłych (powyżej 18 lat) zostały przyjęte z uwzględnieniem wyników badania ankietowego i były testowane w ramach analizy wrażliwości. Zmiana wnioskowania nastąpiła w dwóch przypadkach, które ze względu na jednakową efektywność kliniczną są mało prawdopodobne.

Parametr odnoszący się do *compliance* również został poddany testowaniu w ramach analizy wrażliwości wykazując stabilność wnioskowania w obliczu jego zmiany.

Terapia preparatami VPRIV[®] oraz Cerezyme[®] jest terapią drogą z perspektywy płatnika publicznego, dlatego oszczędności wynikające z realizacji scenariusza nowego w miejsce istniejącego powinny być zauważalne w rzeczywistej praktyce.

Nie odnaleziono analogicznych analiz wpływu na budżet płatnika publicznego. Szczegółowe wyniki przeszukania medycznych baz danych oraz zagranicznych portali zawarte są w analizie ekonomicznej preparatu VPRIV[®] [23].

Do ograniczeń analizy należy fakt, iż na potrzeby modelowania przyjęto, że pacjenci zmieniają terapię preparatem imiglucerazy na terapię preparatem welaglucerazy alfa na początku każdego roku analizy. Ze względu na fakt, iż preparat VPRIV[®] nie jest obecnie dostępny dla pacjentów, uzyskane na podstawie badania kwestionariuszowego dane dotyczące dawkowania welaglucerazy również należą do ograniczeń niniejszej analizy.

Podsumowując, należy stwierdzić, że realizacja nowego scenariusza zakładającego finansowanie produktu leczniczego VPRIV[®] ze środków publicznych przyniesie oszczędności z perspektywy płatnika publicznego (jako tańsza opcja terapeutyczna od

obecnie stosowanej w ww. wskazaniu imiglucerazy), spowoduje zwiększenie różnorodności dostępnych dla pacjenta opcji profilaktycznych, umożliwi terapię pacjentom leczonym imiglucerażą, którzy nie osiągają wyznaczonych celów terapeutycznych lub którzy nie mogą przyjmować imigluceraży. Welagluceraza alfa jest podobnie skuteczna klinicznie, ma zbliżony profil bezpieczeństwa oraz jest mniej immunogenna od imigluceraży, czyli w jej przypadku przeciwciała w mniejszym stopniu mogą ograniczyć aktywność preparatu oraz wywołać reakcje nadwrażliwości u pacjentów [18].

8. Wnioski końcowe

[Redacted text block 1]

[Redacted text block 2]

[Redacted text block 3]

9. Bibliografia

- [1] Sidransky E: Gaucher disease. eMedicine, <http://emedicine.medscape.com/article/944157-overview> (data ostatniej aktualizacji: sierpień 2013 roku).
- [2] Elstein D, Zimran A: Review of safety and efficacy of imiglucerase treatment of Gaucher disease. *Biologics* 2009; 3: 407-417.
- [3] Sanak M: Lizosomalne choroby spichrzeniowe. (Opracowanie). *Medycyna Praktyczna* 2006/01; nr katalogowy 3440. <http://www.mp.pl/artykuly/?aid=27463> (data ostatniej aktualizacji: sierpień 2013 roku).
- [4] Zimran A, Loveday K, Fratizzi C, Elstein D: A pharmacokinetic analysis of a novel enzyme replacement therapy with Gene-Activated® human glucocerebrosidase (GA-GCB) in patients with type 1 Gaucher disease. *Blood Cells, Mol. Dis.* 2007; 38: 115-118.
- [5] Zimran A, Altarescau G, Philips M et al.: Phase 1/2 and extension study of velaglucerase alfa replacement therapy in adults with type 1 Gaucher disease: 48-month experience. *Blood* 2010; 115: 4651-4666.
- [6] Charakterystyka Produktu Leczniczego: imigluceraza (Cerezyme®).
- [7] Charakterystyka Produktu Leczniczego: welagluceraza alfa (VPRIV®).
- [8] Zarządzenie Nr 29/2013/DGL Prezesa Narodowego Fundusza Zdrowia z dnia 15 maja 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu zdrowotne (lekowe).
- [9] Xu Y-H, Sun Y, Barnes S, Pastorem GM: Comparative therapeutic effects of velaglucerase alfa and imiglucerase in a Gaucher disease mouse model. *PlosOne* 2010; 5: e1075.
- [10] Brumshtein B, Salina P, Petersom B et al.: Characterization of gene-activated human acid β -glucosidase: crystal structure, glycan composition, and internalization into macrophages. *Glycobiology* 2010; 20: 24-32.
- [11] Connock M, Burls A, Frew E et al.: The clinical effectiveness and cost-effectiveness of enzyme replacement therapy for Gaucher's disease: systematic review. *Health Technology Assessment* 2006; vol. 10, nr 24.
- [12] Weinreb N, Taylor J, Cox T et al.: A benchmark analysis of the achievement of therapeutic goals for type 1 Gaucher disease patients treated with imiglucerase. *Am. J. Hematol.* 2008; 83: 890-895.
- [13] Mehta A: Epidemiology and natural history of Gaucher's disease. *Eur J Intern Med* 2006; 17 Suppl, S2-S5.
- [14] Ustawa o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696).
- [15] Paragraf 2 artykułu 41, rozdziału 1, działu VIII Ustawy z dnia 11 marca 2004 r. o podatku od towarów i usług (Dz. U. z 2004 r., Nr 54, poz. 535, z późn. zm.), oraz załącznik 3 ww. ustawy, z pozycjami 72, 79, 83, 84, 86, 96, 97, 99, 100, 101, 102, 103, 104, 105, 106 i 107.
- [16] Portal internetowy Agencji Oceny Technologii Medycznych, www.aotm.gov.pl (data ostatniej aktualizacji: sierpień 2013 roku).
- [17] Portal internetowy Narodowego Funduszu Zdrowia, www.nfz.gov.pl (data ostatniej aktualizacji: sierpień 2013 roku).
- [18] Analiza kliniczna preparatu VPRIV® (welagluceraza alfa) stosowanego w leczeniu choroby Gauchera 1 typu, Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. komandytowa (sierpień 2013 roku).

-
- [19] Zarządzenie Nr 19/2013/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 10 kwietnia 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe).
- [20] Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 24 czerwca 2013 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2013 r.
- [21] Informator o umowach NFZ, <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=19&artnr=1483>
- [22] Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U.12.388).
- [23] Ocena zasadności ekonomicznej z perspektywy płatnika publicznego dla stosowania welaglucerazy alfa (VPRIV®) w leczeniu choroby Gauchera typu 1 w Polsce. Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. komandytowa (sierpień 2013 roku).
- [24] Turkia HB., Gonzalez DE., Barton NW. et al. Velaglucerase alfa enzyme replacement therapy compared with imiglucerase in patients with Gaucher disease. *Am J Hematol.* 2013 Mar;88(3):179-84.
- [25] Załącznik nr 19 do zarządzenia Nr 65/2009/DGL Prezesa NFZ z dnia 3 listopada 2009 r.
- [26] Załącznik nr 15 do zarządzenia Nr 41/2009 Prezesa NFZ z dnia 15 września 2009 roku.
- [27] Załącznik nr 18 do Zarządzenia Nr 59/2011/DGL Prezesa NFZ z dnia 10 października 2012 roku.
- [28] Komunikat DGL Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 18.07.2013 r.: Kwoty refundacji i ilości zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych narastająco od początku roku do grudnia 2012 r.
- [29] Komunikat DGL Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 24.07.2013 r.: Kwoty refundacji i ilości zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych narastająco od początku roku do kwietnia 2013 r.
-

10. Aneks

10.1. Metody przeprowadzenia badania kwestionariuszowego

Kwestionariusz wykorzystany do gromadzenia informacji do niniejszego opracowania, który był wypełniany przez dwóch ekspertów klinicznych z dziedziny chorób ultrazadkich przedstawiono poniżej.

[Redacted content]

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

[Redacted content]

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

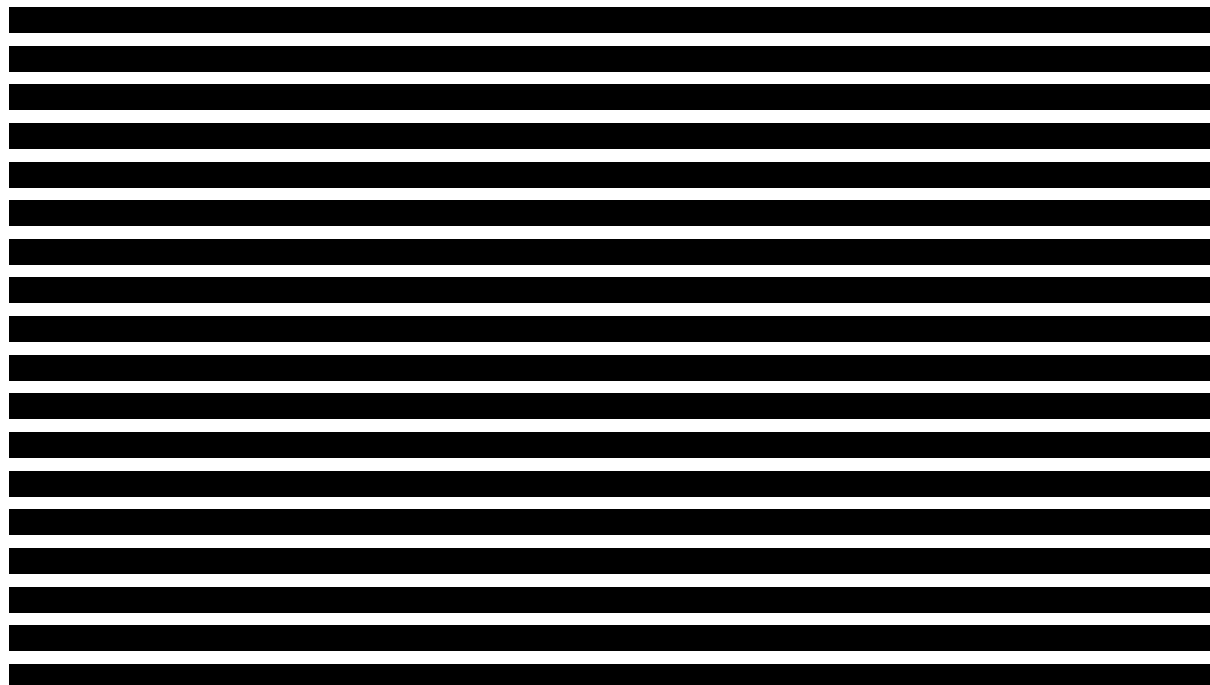
██████████

Tabela 1. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego na terapię preparatem Cerezyme®.....	15
Tabela 2. Odsetek pacjentów leczonych imiglucerazą i welaglucerażą alfa w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w scenariuszu istniejącym.	16
Tabela 3. Odsetek pacjentów leczonych imiglucerażą i welaglucerażą alfa w długotrwałej enzymatycznej terapii zastępczej choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w scenariuszu nowym.	16
Tabela 4. Liczba osób cierpiących na chorobę Gauchera – wszystkie typy.	18
Tabela 5. Liczebność analizowanej populacji w trzech latach analizy.	18
Tabela 6. Liczba pacjentów stosujących porównywane preparaty z podziałem na trzy rozpatrywane scenariusze w trzech kolejnych latach analizy (scenariusz istniejący).	19
Tabela 7. Liczba pacjentów stosujących porównywane preparaty z podziałem na trzy rozpatrywane scenariusze w trzech kolejnych latach analizy (scenariusz nowy).	20
Tabela 8. Podsumowanie wielkości populacji zgodnej z §6 ust 1 i 2 Rozporządzenia [22] (wyniki zaokrąglone). W nawiasach podano wartości uwzględnione w ramach skrajnych scenariuszy wielkości analizowanej populacji (minimalnego i maksymalnego).	21
Tabela 9. Koszt 1 j.m. VPRIV® (scenariusz nowy).	25
Tabela 10. Koszt 1 j.m. Cerezyme® (scenariusz istniejący i nowy).	26
Tabela 11. Struktura dawkowania imiglucerazy u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera”.	27
Tabela 12. Struktura dawkowania welaglucerazy alfa u pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera”.	27
Tabela 13. Struktura wiekowa pacjentów z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii) w ramach programu lekowego „Leczenie choroby Gauchera”.	27
Tabela 14. Średnia waga pacjenta z potwierdzonym rozpoznaniem choroby Gauchera typu 1 (bez neuropatii).	28
Tabela 15. Roczna liczba dni hospitalizacji związanych z podawaniem welaglucerazy alfa lub imiglucerazy.	28
Tabela 16. Odsetek pacjentów, u których welagluceraza alfa lub imigluceraza podawane są w ramach poszczególnych typów świadczeń szpitalnych.	29
Tabela 17. Wycena punktowa oraz koszt świadczeń szpitalnych oraz koszt punktu w lecznictwie szpitalnym.	29
Tabela 18. Wycena diagnostyki oraz wizyt monitorujących stan pacjenta w programie "Leczenie choroby Gauchera".	30
Tabela 19. Parametry uwzględnione w analizie wpływu na budżet.	33
Tabela 20. ██████████ ██████████.	36
Tabela 21. ██████████ ██████████.	37
Tabela 22. ██████████ ██████████.	39
Tabela 23. ██████████ ██████████.	40
Tabela 24. ██████████ ██████████.	43
Tabela 25. ██████████ ██████████.	44

Tabela 26. [REDACTED] [REDACTED]	46
Tabela 27. [REDACTED] [REDACTED]	47
Tabela 28. [REDACTED] [REDACTED]	50
Tabela 29. [REDACTED] [REDACTED]	51
Tabela 30. [REDACTED] [REDACTED]	53
Tabela 31. [REDACTED] [REDACTED]	54
Tabela 32. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz istniejący; neutralny.	55
Tabela 33. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz nowy; neutralny.	56
Tabela 34. Wyniki analizy zużytych zasobów – wartości inkrementalne realizacji scenariusza nowego; neutralnego.	56
Tabela 35. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz istniejący; minimalny.	57
Tabela 36. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz nowy; minimalny.	57
Tabela 37. Wyniki analizy zużytych zasobów – wartości inkrementalne realizacji scenariusza nowego; minimalnego.	58
Tabela 38. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz istniejący; maksymalny.	58
Tabela 39. Wyniki analizy zużytych zasobów – scenariusz nowy; maksymalny.	59
Tabela 40. Wyniki analizy zużytych zasobów – wartości inkrementalne realizacji scenariusza nowego; maksymalnego.	59
Tabela 41. [REDACTED]	61
Tabela 42. [REDACTED]	63
Tabela 43. [REDACTED] [REDACTED]	66
Tabela 44. [REDACTED]	67
Tabela 45. [REDACTED] [REDACTED]	67
Tabela 46. [REDACTED] [REDACTED]	68
Tabela 47. [REDACTED] [REDACTED]	68
Tabela 48. [REDACTED] [REDACTED] [REDACTED]	69
Tabela 49. [REDACTED]	70
Tabela 50. [REDACTED]	72
Tabela 51. [REDACTED] [REDACTED]	75
Tabela 52. [REDACTED]	76
Tabela 53. [REDACTED] [REDACTED]	76
Tabela 54. [REDACTED] [REDACTED]	77

Tabela 55. [REDACTED]	
[REDACTED]	77
Tabela 56. [REDACTED]	
[REDACTED]	78
Tabela 57. Analiza SWOT	82
Tabela 58. Kwestionariusz wypełniany przez ekspertów klinicznych.	90
Tabela 59. Wyniki badania kwestionariuszowego – wartości liczbowe, które zostały uwzględnione w modelu.	96

Spis rysunków



Informacja o Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k.

www.centrumhta.com

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. jest profesjonalnym ośrodkiem analitycznym, zajmującym się oceną efektywności klinicznej oraz efektywności kosztowej procedur medycznych. Centrum skupia się na ocenie wartości klinicznej i konsekwencji finansowych stosowanych procedur medycznych, z wykorzystaniem nowoczesnych narzędzi analitycznych: **Medycyny Opartej na Dowodach Naukowych (EBM)** oraz **Oceny Technologii Medycznych (HTA)**.

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. współpracuje z grupą kilkunastu konsultantów zajmujących się oceną efektywności klinicznej na podstawie wyników przeglądu systematycznego medycznych baz danych (EBM), Oceną Technologii Medycznych (HTA) bądź farmakoekonomiką; głównym konsultantem jest dr n. med. Paweł Kawalec, który usługami doradczymi w powyższym zakresie zajmuje się od ponad ośmiu lat, współpracując w międzyczasie z kilkunastoma firmami farmaceutycznymi i realizując dla nich ponad 300 projektów, głównie dotyczących oceny efektywności klinicznej oraz opłacalności leków.

Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. zapewnia szybką realizację zleceń, wysoką jakość usług oraz konkurencyjne ceny. Gwarantujemy wykonanie zleceń zgodnie z wymogami wiarygodności: w przypadku analiz efektywności klinicznej, analiz farmakoekonomicznych oraz analiz finansowych zgodnie z **Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM; www.aotm.gov.pl)**.

Założone we wrześniu 2005 roku Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k. zajmuje się usługami konsultingowymi dotyczącymi rynku farmaceutycznego w Polsce. Działalność firmy obejmuje szerokie spektrum usług doradczych dotyczących efektywności leków oraz produktów medycznych a także rynku farmaceutycznego w Polsce.

Produkty oferowane przez Centrum HTA Sp. z o.o. Sp. k.:

- **Charakterystyka segmentu rynku farmaceutycznego w Polsce,**
- **Pełny raport HTA** obejmujący:
 - analizę efektywności klinicznej określonego produktu w porównaniu z wybranymi komparatorami,
 - analizę efektywności kosztów (opłacalności) określonego produktu w porównaniu z wybranymi komparatorami,
 - analizę finansowego wpływu decyzji o refundacji określonego leku na budżet płatnika publicznego w Polsce.
- **Przegląd systematyczny** dotyczący efektywności klinicznej wybranych substancji aktywnych w porównaniu z innymi alternatywnie stosowanymi lekami,
- **Analizę finansowego wpływu decyzji o refundacji** określonego leku na budżet płatnika publicznego w Polsce, niezależnie od raportu HTA.