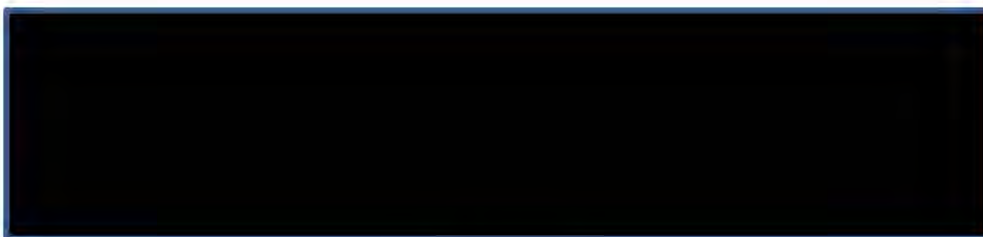


Wigabatryna (Sabril®) w zespole Westa

Analiza wpływu na budżet



Warszawa

2014

Autorzy raportu:

[Redacted]

Wkład pracy:

- [Redacted]

Adres do korespondencji:

[Redacted]

Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:

Sanofi-Aventis Sp. z o. o.

ul. Bonifraterska 17, 00-203 Warszawa

Tel.: +48 22 280 00 00

SPIS TREŚCI

SPIS TREŚCI	3
SKRÓTY I AKRONIMY	5
STRESZCZENIE	6
1 CEL ANALIZY	9
2 METODY	10
2.1 Perspektywa analizy.....	10
2.2 Horyzont czasowy.....	10
2.3 Populacja.....	10
2.3.1 Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	10
2.3.2 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	11
2.3.3 Populacja docelowa, zgodna z wnioskiem refundacyjnym	11
2.4 Scenariusz istniejący.....	15
2.5 Scenariusz nowy.....	17
2.6 Wariant minimalny i maksymalny	20
2.7 Koszty	21
2.7.1 Koszty leków.....	21
2.7.2 Koszty hospitalizacji	26
2.8 Grupa limitowa	26
2.9 Podsumowanie tabelaryczne wartości wejściowych do kalkulatora	27
3 WYNIKI	28
3.1 Scenariusz istniejący.....	28
3.2 Scenariusz nowy podstawowy.....	30
■ [redacted]	30
■ [redacted]	30
3.3 Scenariusz minimalny	35
■ [redacted]	35
■ [redacted]	35
3.4 Scenariusz maksymalny	40
■ [redacted]	40

SKRÓTY I AKRONIMY

AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
BIA	analiza wpływu na budżet
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
■	■
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia

STRESZCZENIE

Cel analizy

Celem analizy jest ocena obciążeń budżetowych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) związanych z finansowaniem ze środków publicznych preparatu Sabril® (wigabatryna) stosowanego w monoterapii w I linii leczenia napadów padaczkowych u dzieci z zespołem Westa.

Metody

Populację docelową w analizie wpływu na budżet stanowią dzieci z zespołem Westa.

[Redacted text block]

Wyniki

Scenariusz istniejący

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Scenariusz nowy

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Scenariusze skrajne

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Wnioski



Słowa kluczowe

Analiza wpływu na budżet, Sabril, wigabatryna, zespół Westa

1 CEL ANALIZY

Celem analizy jest ocena obciążeń budżetowych Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) związanych z finansowaniem ze środków publicznych preparatu Sabril® (wigabatryna) stosowanego w monoterapii w I linii leczenia napadów padaczkowych u dzieci z zespołem Westa.

Tab. 1 Cel analizy.

Populacja	Dzieci z zespołem Westa. Wskazanie <i>Monoterapia napadów padaczkowych u niemowląt (zespół Westa)</i> , [redacted] [redacted] • [redacted]
Interwencja	Wigabatryna (Sabril®); dawkowana zgodnie z ChPL
Komparatory	[redacted]
Wyniki	[redacted]

2 METODY

2.1 Perspektywa analizy

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego finansującego świadczenia zdrowotne – Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz wspólnej (NFZ i pacjenta).

2.2 Horyzont czasowy

[REDACTED]

Zgodnie z wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych, nie dyskontowano przyszłych kosztów.

2.3 Populacja

Zgodnie z minimalnymi wymaganiami dla analiz¹ niezbędne jest oszacowanie rocznej liczebności następujących populacji (Tab. 2):

- obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana;
- w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana;
- docelowej wskazanej we wniosku.

Opis i wyniki oszacowań zamieszczono w kolejnych podrozdziałach.

Tab. 2 Populacje zgodnie z minimalnymi wymaganiami.

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

2.3.1 Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Obwieszczenie Ministra Zdrowia wskazuje na możliwość refundacji preparatu Sabril® w padaczkach lekoopornych.¹²

Zgodnie z piśmiennictwem, w Polsce jest obecnie ok. 400 tysięcy pacjentów z padaczką. Spośród nich ok. 30% stanowią pacjenci z padaczką lekooporną.²

[Redacted text]

2.3.2 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

[Redacted text]

Tab. 3 Oszacowanie populacji,

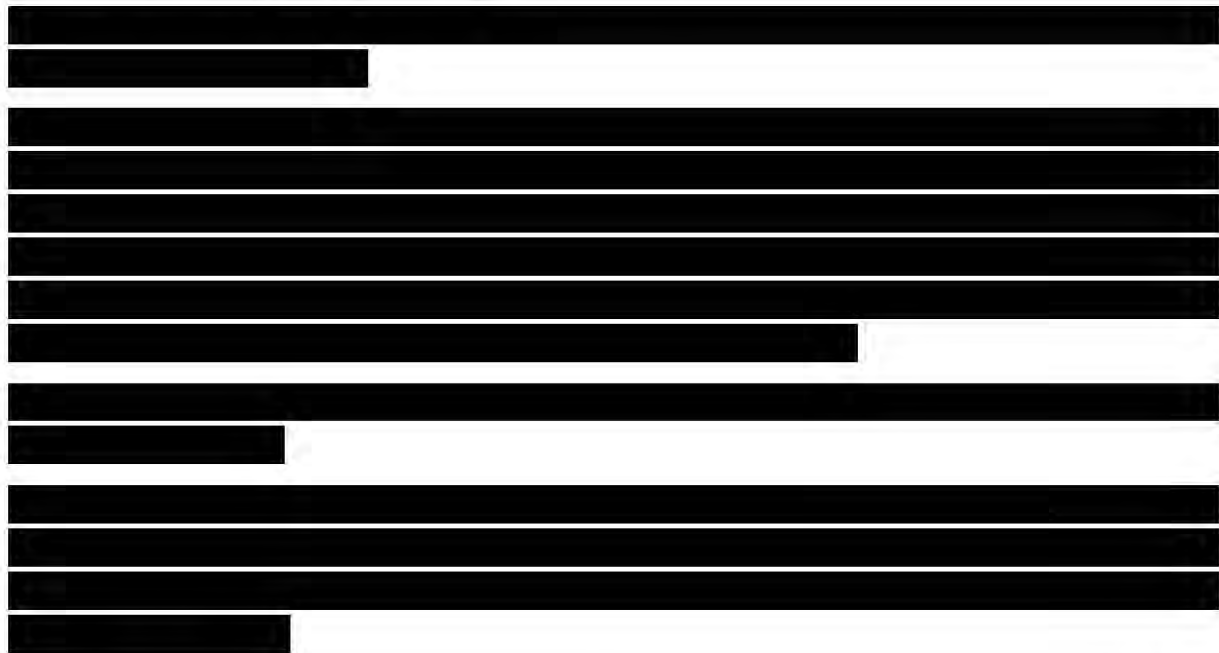
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

2.3.3 Populacja docelowa, zgodna z wnioskiem refundacyjnym

[Redacted text]

Zgodnie z rekomendacją Prezesa AOTM z 27 maja 2013⁴ wydano 189 zgód na import docelowy preparatu Synacthen Depot. Należy mieć na uwadze, że nie wszystkie zgody dotyczą leczenia zespołu Westa. Rekomendacja wymienia również inne wskazania:

- padaczka lekooporna pod postacią:
 - zespołu Dravet;
 - zespołu Lennox-Gastauta;
- padaczki o nieustalonej etiologii – napady o morfologii napadów tonicznych występujące gromadnie z nabytymi zaburzeniami mowy o spektrum zespołu Landau-Kleffnera;
- zespół Kinsbourne’a w przebiegu choroby nowotworowej – nerwiaka zarodkowego współczulnego.



Tab. 4 [Redacted]

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

Tab. 5 Charakterystyka populacji w badaniach zakwalifikowanych do przeglądu systematycznego skuteczności i bezpieczeństwa wigabatryny w zespole Westa.

█	█	█	█
	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█
█	█	█	█

Wigabatryna (Sabril®) w zespole Westa - analiza wpływu na budżet.

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

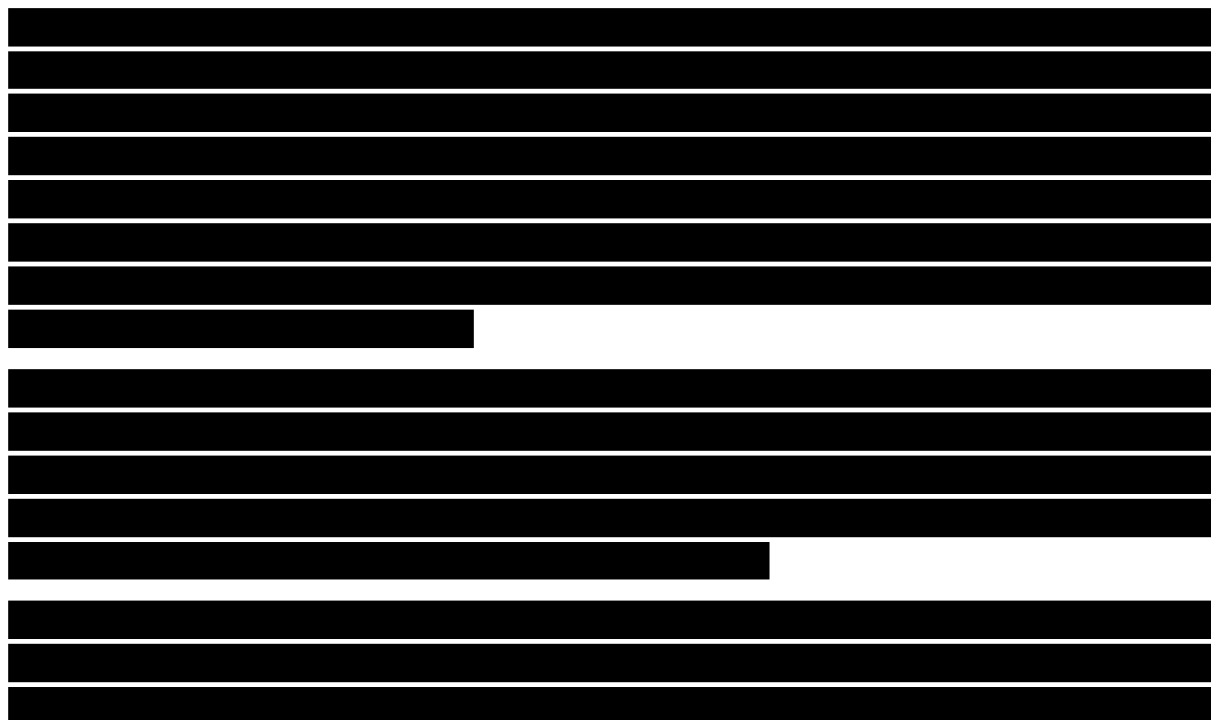
2.4 Scenariusz istniejący

Zespół Westa to bardzo specyficzny zespół padaczkowy występujący w najmłodszej grupie wiekowej (głównie u niemowląt) i powodujący degradację rozwoju. Jeżeli zahamowanie rozwoju wystąpi w okresie krytycznym (czyli właśnie w niemowlęctwie), to straty rozwojowe są z reguły nie do odrobienia.

Zespół Westa charakteryzuje się triadą objawów: (1) hipsarytmią, czyli zdezorganizowaną czynnością bioelektryczną mózgu (podobnie do stanu padaczkowego), (2) encefalopatią oraz (3) napadami skłonów.⁷ Napady skłonów mają bardzo charakterystyczny obraz kliniczny – występują w kilkudziesięciu seriach w ciągu dnia, po kilka w serii, w sumie nierzadko przekraczając liczbę 100 napadów na dobę. Napadom skłonów towarzyszy wspomniana zdezorganizowana czynność bioelektryczna mózgu, co skutkuje zaburzeniami świadomości dziecka. Objawem często dostrzeganym przez rodziców jest utrata kontaktu wzrokowego z dzieckiem.

Zespół Westa jest bardzo obciążającym rozpoznaniem - nieefektywne leczenie (w tym opóźnienie efektywnego leczenia) zwykle prowadzi do ewolucji zespołu w zespół Lennox-Gastauta, wiąże się z głębokim upośledzeniem, trwałym głębokim inwalidztwem do końca życia oraz całkowitym uzależnieniem od osób trzecich.

Celem leczenia zespołu Westa jest jak najszybsze, całkowite ustąpienie napadów zgięciowych oraz ustąpienie hipsarytmii. Sama redukcja liczby napadów, nie świadczy o przerwaniu swoistego stanu padaczkowego i przywróceniu uporządkowanej funkcji bioelektrycznej mózgu, dlatego nie jest w żaden sposób satysfakcjonująca (tzw. zasada „wszystko albo nic”). Opóźnienie leczenia prowadzi do nieodwracalnych zmian rozwojowych.



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

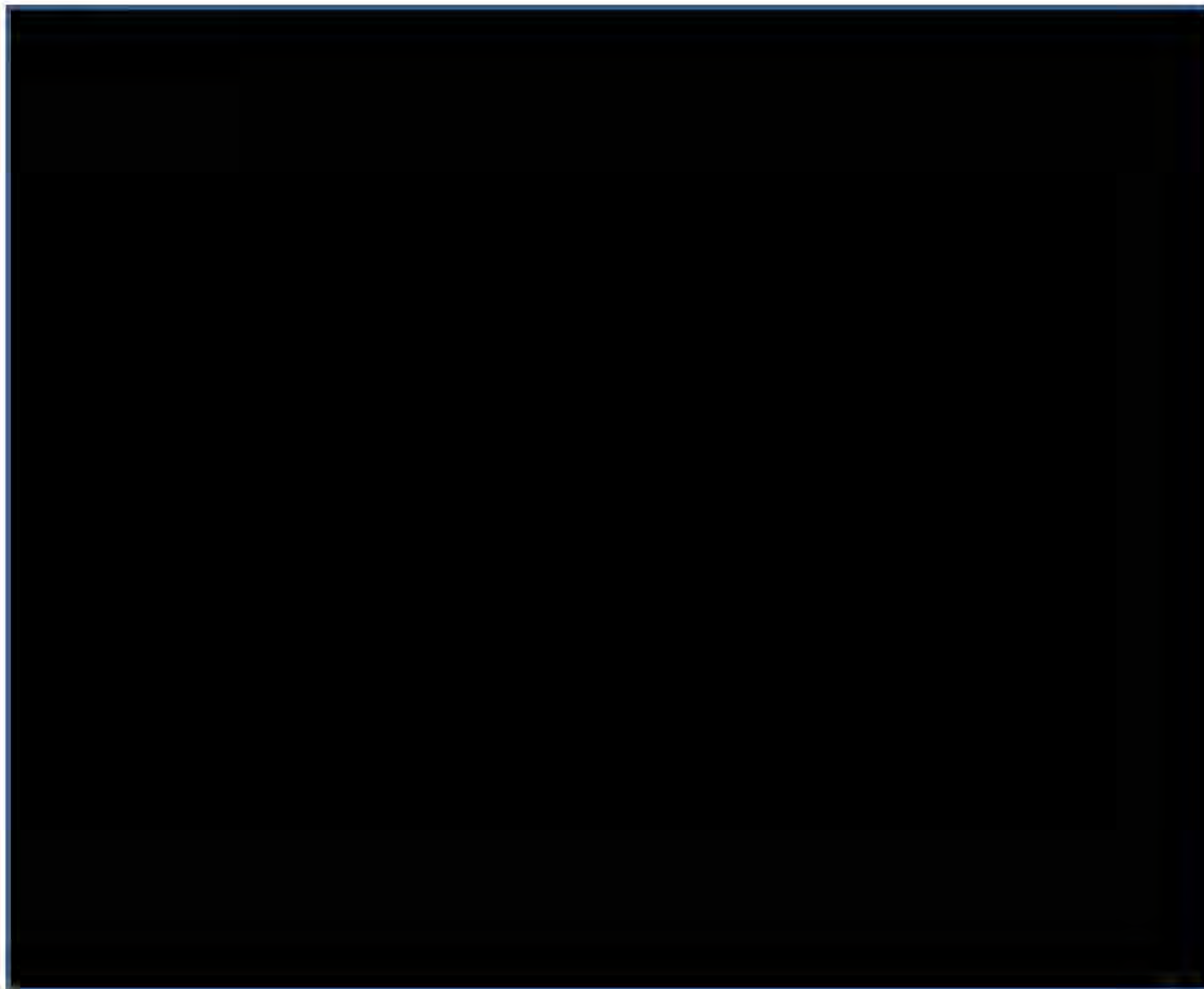
2.5 Scenariusz nowy

[Redacted text block]

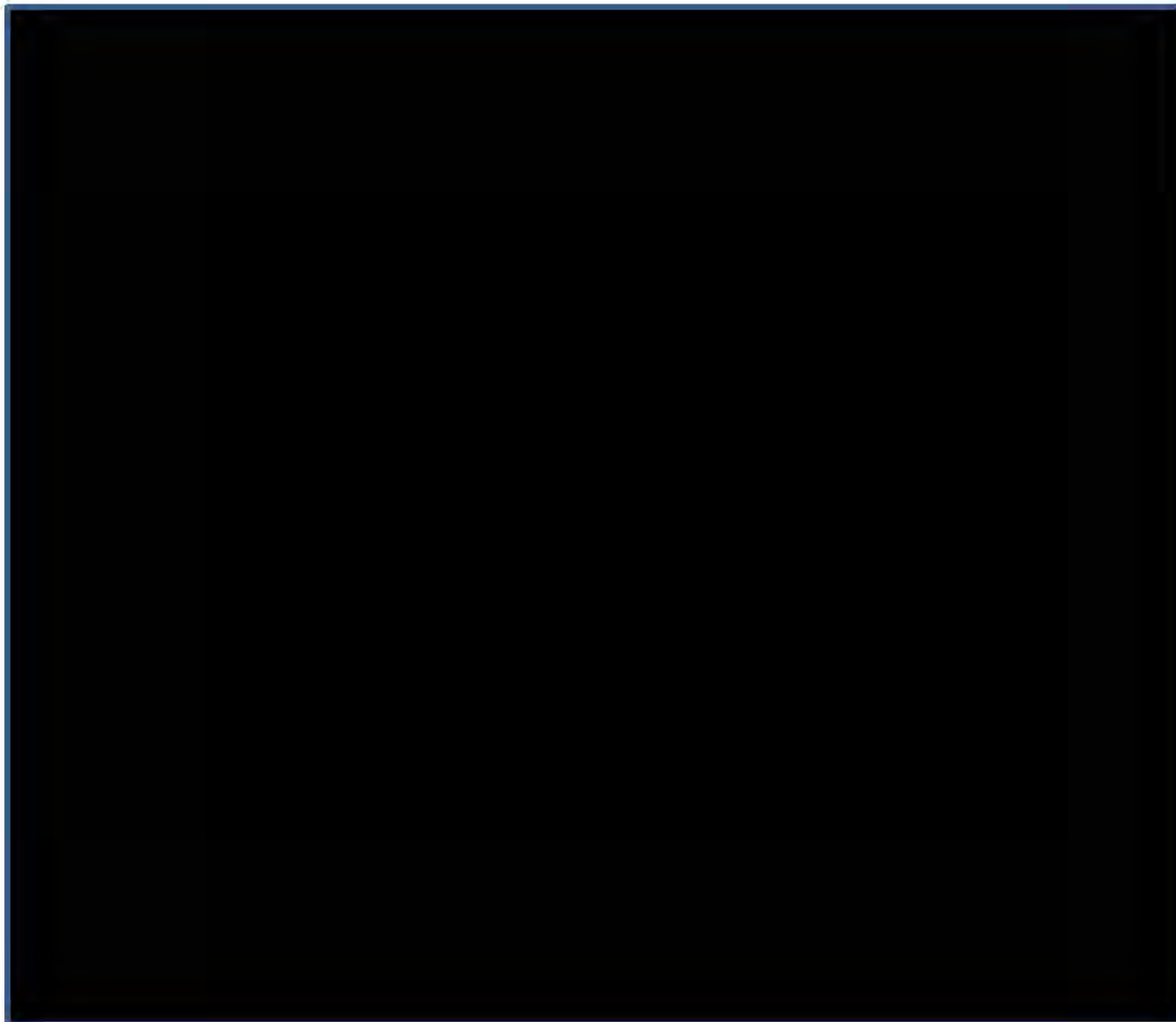
[Redacted text block]

[Redacted text block]

Ryc. 1 Scenariusz istniejący.



Ryc. 2 Scenariusz nowy.



2.6 Wariant minimalny i maksymalny

[Redacted text block]

Tab. 6 Założenia scenariusza minimalnego oraz maksymalnego.

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

2.7 Koszty

2.7.1 Koszty leków

[Redacted content]

Tab. 7

Tab. 8

Tab. 9 [Redacted]

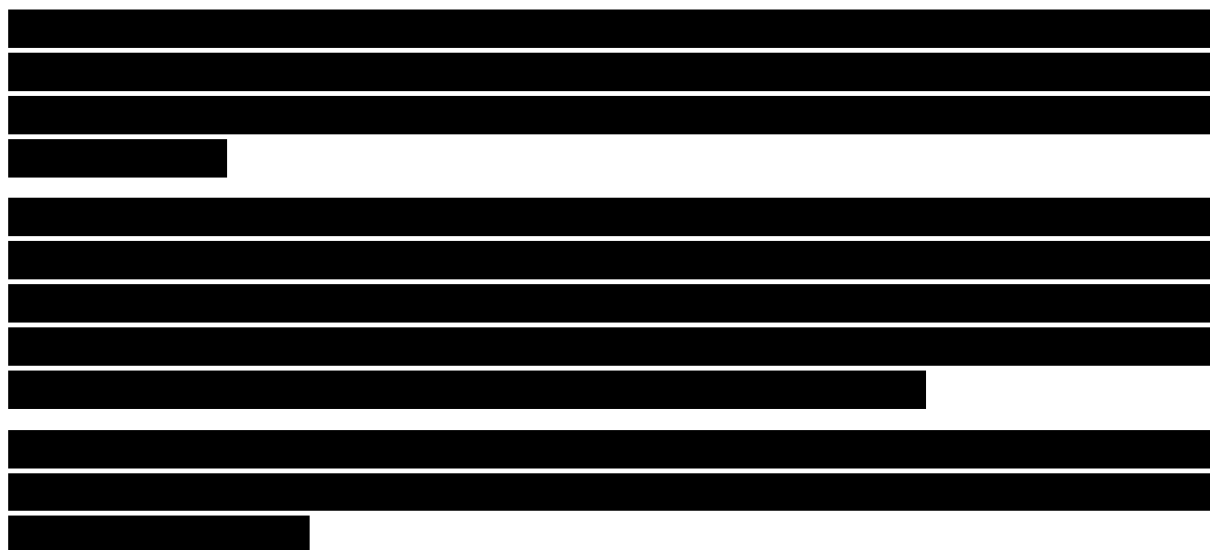
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]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

Tab. 10 [Redacted]

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

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

2.7.2 Koszty hospitalizacji

The table content is completely redacted with black bars. It appears to be a table with multiple rows and columns, but no data is visible.

2.8 Grupa limitowa

The table content is completely redacted with black bars. It appears to be a table with multiple rows and columns, but no data is visible.

2.9 Podsumowanie tabelaryczne wartości wejściowych do kalkulatora

Tab. 12 Podsumowanie tabelaryczne wartości dla parametrów wejściowych do kalkulatora BIA.

[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[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 WYNIKI

3.1 Scenariusz istniejący

[Redacted content]

Tab. 13 Scenariusz istniejący: liczba pacjentów oraz koszty terapii.

3.2 Scenariusz nowy podstawowy

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Tab. 15 Scenariusz nowy podstawowy

Tab. 16 Scenariusz nowy podstawowy

Tab. 17 Scenariusz nowy podstawowy

3.3 Scenariusz minimalny

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

Tab. 18 Scenariusz minimalny [redacted]

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

Tab. 19 Scenariusz minimalny [redacted]

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

Tab. 21 Scenariusz minimalny



3.4 Scenariusz maksymalny

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

Tab. 22 Scenariusz maksymalny

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

Tab. 24 Scenariusz maksymalny

4 ASPEKTY SPOŁECZNE I ETYCZNE

Nie zidentyfikowano dziedziny życia społecznego, która mogłaby ponieść straty związane z wprowadzeniem refundacji wigabatryny w 1. linii terapii zespołu Westa.

Nie ma podstaw by sądzić, że wprowadzenie refundacji wigabatryny w 1. linii terapii będzie powodowało problemy natury moralnej. Wręcz odwrotnie. Wątpliwości budzi sytuacja, w której leczenie wigabatryną jest dostępne, ale w trybie odroczonym. Istnieją dowody, że opóźnienie wprowadzenia skutecznej terapii skutkuje większym poziomem niepełnosprawności pacjentów przez całe późniejsze życie.

W Tab. 26 przedstawiono komentarze do obszarów etycznych i społecznych wskazanych w Wytycznych oceny technologii medycznych (HTA) Agencji Oceny Technologii Medycznych.

Tab. 26 Aspekty etyczne i społeczne wniosku.

CZY POZYTYWNE ROZPATRZENIE WNIOSKU WPŁYNIE NA OSOBY INNE NIŻ STOSUJĄCE TĘ TECHNOLOGIĘ (WPŁYWY ZEWNĘTRZNE)?

Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie?

Nie zidentyfikowano grup chorych/pacjentów, które mogą być faworyzowane. Przy ograniczeniu refundacji do niemowląt, faworyzowane byłyby niesłusznie dzieci z tej grupy wiekowej.

Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach?

Tak

Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna?

[Redacted]

Czy technologia jest odpowiedzią na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych?

Tak. Pacjenci z zespołem Westa w Polsce nie mają dostępu do refundowanego skutecznego leczenia w ramach 1. linii terapii.

Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia?

Pacjenci z zespołem Westa w Polsce nie mają dostępu do refundowanego skutecznego leczenia w ramach 1. linii terapii.

CZY POZYTYWNA DECYZJA MOŻE POWODOWAĆ PROBLEMY SPOŁECZNE?

Czy może wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej?

Spodziewane jest zwiększenie poziomu satysfakcji pacjentów.

Czy może grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych?

Mało prawdopodobne.

Czy może powodować lub zmieniać stygmatyzację?

Mało prawdopodobne.

Czy może wywoływać lęk?

Mało prawdopodobne.

Czy może powodować dylematy moralne?

Mało prawdopodobne.

Czy może stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne?

Mało prawdopodobne.

CZY DECYZJA DOTYCZĄCA TECHNOLOGII NIE KOLIDUJE Z PRAWEM?

Czy nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi?

Nie zidentyfikowano sprzeczności z regulacjami prawnymi.

Czy oddziałuje na prawa człowieka lub pacjenta?

Technologia nie oddziałuje na prawa człowieka i pacjenta.

CZY STOSOWANIE TECHNOLOGII NAKŁADA SZCZEGÓLNE WYMOGI?

Czy jest konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody?

Tak. Podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.

Czy istnieje potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania?

Tak. Podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.

Czy istnieje potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania?

Tak. Podobnie jak w przypadku wszystkich innych technologii medycznych.

5 WPŁYW NA UDZIELANIE ŚWIADCZEŃ ZDROWOTNYCH

Wprowadzenie refundacji wigabatryny w 1. linii terapii zespołu Westa, nie powinno w znaczący sposób wpłynąć bezpośrednio na model udzielania świadczeń zdrowotnych.

Pośrednio, można spodziewać się, że szybsze (bez zbędnej zwłoki) osiągnięcie remisji u dzieci z zespołem Westa, zmniejszy stopień osiągniętej niepełnosprawności i zmniejszy obciążenie systemu z tytułu opieki nad dzieckiem niepełnosprawnym. Efekty te są trudno kwantyfikowalne, ale oczekiwania co do ich wystąpienia, uzasadnione.

6 OGRANICZENIA

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

7 WNIOSKI

[REDACTED]

8 ANEKS

8.1 Zgodność opracowania z minimalnymi wymaganiami dla analizy wpływu na budżet (według Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dn. 02.04.2012 r.).

Wymaganie	Rozdział/Tabela
§ 2. Informacje zawarte w analizach muszą być aktualne na dzień złożenia wniosku, co najmniej w zakresie skuteczności, bezpieczeństwa, cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i technologii opcjonalnych.	Informacje o finansowaniu zgodne z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 23.04.2014
§ 6.1 Analiza wpływu na budżet zawiera:	
<ul style="list-style-type: none"> • oszacowanie rocznej liczebności populacji: <ul style="list-style-type: none"> ▪ obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana; ▪ docelowej, wskazanej we wniosku; ▪ w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana; 	
<ul style="list-style-type: none"> • oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • oszacowanie aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...) ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje; 	
<ul style="list-style-type: none"> • ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • oszacowanie dodatkowych wydatków (...), jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • minimalny i maksymalny wariant oszacowania (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...); 	
<ul style="list-style-type: none"> • wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań (...) oraz prognoz (...), w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu; 	
<ul style="list-style-type: none"> • dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania (...) oraz prognozy (...). 	

Wymaganie	Rozdział/Tabela
§ 6.2 Oszacowania (...) oraz prognozy (...) dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet.	[REDACTED]
§ 6.3 Oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 3, 6 i 7 oraz prognozy, o których mowa w ust. 1 pkt 4 i 5, dokonuje się w szczególności na podstawie oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2. (...). Jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań, o których mowa w ust. 1 pkt 1 i 2, analiza wpływu na budżet może zawierać dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane.	[REDACTED]
§ 6.4 Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka (...), oszacowania (...) oraz prognozy (...) powinny być przedstawione w następujących wariantach:	[REDACTED]
<ul style="list-style-type: none"> • z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka; 	[REDACTED]
<ul style="list-style-type: none"> • bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka 	[REDACTED]
§ 6.5 Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 ustawy.	[REDACTED]
§ 6.6 Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia kryteriów, o których mowa w art. 15 ust. 2 i wymagania, o których mowa w art. 15 ust. 3 pkt 2 ustawy.	[REDACTED]
§ 8. Analizy, o których mowa w §1, muszą zawierać:	[REDACTED]
<ul style="list-style-type: none"> • dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości umożliwiającego jednoznaczną identyfikację każdej z wykorzystanych publikacji; 	[REDACTED]
<ul style="list-style-type: none"> • wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii. 	[REDACTED]

SPIS TABEL

Tab. 1 Cel analizy	9
Tab. 2 Populacje zgodnie z minimalnymi wymaganiami	10
Tab. 3 Oszacowanie populacji, [REDACTED] [REDACTED]	11
Tab. 4 [REDACTED] [REDACTED]	12
Tab. 5 Charakterystyka populacji w badaniach zakwalifikowanych do przeglądu systematycznego skuteczności i bezpieczeństwa wigabatryny w zespole Westa.	13
Tab. 6 Założenia scenariusza minimalnego oraz maksymalnego.....	20
Tab. 7 [REDACTED] [REDACTED]	21
Tab. 8 [REDACTED] [REDACTED]	22
Tab. 9 [REDACTED] [REDACTED]	23
Tab. 10 [REDACTED] [REDACTED]	23
Tab. [REDACTED] [REDACTED]	24
Tab. 12 Podsumowanie tabelaryczne wartości dla parametrów wejściowych do kalkulatora BIA.....	27
Tab. 13 Scenariusz istniejący: liczba pacjentów oraz koszty terapii.....	29
Tab. 14 Scenariusz nowy podstawowy [REDACTED] [REDACTED]	31
Tab. 15 Scenariusz nowy podstawowy [REDACTED] [REDACTED]	32
Tab. 16 Scenariusz nowy podstawowy [REDACTED] [REDACTED]	33
Tab. 17 Scenariusz nowy podstawowy [REDACTED] [REDACTED]	34
Tab. 18 Scenariusz minimalny [REDACTED] [REDACTED]	36

Tab. 19 Scenariusz minimalny [REDACTED] [REDACTED]	37
Tab. 20 Scenariusz minimalny [REDACTED] [REDACTED]	38
Tab. 21 Scenariusz minimalny [REDACTED] [REDACTED]	39
Tab. 22 Scenariusz maksymalny [REDACTED] [REDACTED]	41
Tab. 23 Scenariusz maksymalny [REDACTED] [REDACTED]	42
Tab. 24 Scenariusz maksymalny [REDACTED] [REDACTED]	43
Tab. 25 Scenariusz maksymalny [REDACTED] [REDACTED]	44
Tab. 26 Aspekty etyczne i społeczne wniosku	45

SPIS RYCIN

Ryc. 1 Scenariusz istniejący.....	18
Ryc. 2 Scenariusz nowy.....	19

PIŚMIENNICTWO

¹ Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 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.

[redacted]

³ WHO http://www.whooc.no/atc_ddd_index/?code=N03AG04&showdescription=yes [dostęp: 27.03.2014].

⁴ Rekomendacja nr 61/2013 z dnia 27 maja 2013 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Synacthen Depot (Tetracosactidum), ampułki á 1 mg/ml we wskazaniach: Padaczka lekooporna pod postacią: Zespołu Westa, Zespołu Dravet, Zespołu Lennox- Gastauta, Padaczka o nieustalonej etiologii - napady o morfologii napadów tonicznych występujące gromadnie z nabytymi zaburzeniami mowy o spektrum zespołu Landau-Kleffnera; Zespół Kinsbourne'a w przebiegu choroby nowotworowej - nerwiaka zarodkowego współczulnego.

[redacted]

⁶ Główny Urząd Statystyczny. Rocznik demograficzny 2013. http://www.stat.gov.pl/gus/5840_rocznik_demograficzny_PLK_HTML.htm [dostęp: 27.03.2014].

[redacted]

[redacted]

⁹ Uchwała Rady NFZ nr 5/2014/II z 20 marca 2014 roku w sprawie przyjęcia okresowego sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za IV kwartał 2013 r. <http://nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=7&artnr=6041> [dostęp: 27.03.2014].

[redacted]

[redacted]

¹² Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 23 kwietnia 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U.14.42).

¹³ Dane NFZ o wartości refundacji cen leków od stycznia do grudnia 2013 roku: <http://nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=6043> [dostęp: 26.03.2014].

¹⁴ <https://prog.nfz.gov.pl/APP-JGP/Grupa.aspx?id=ORFfc2bsaM8%3d> [dostęp 28.04.2014]