



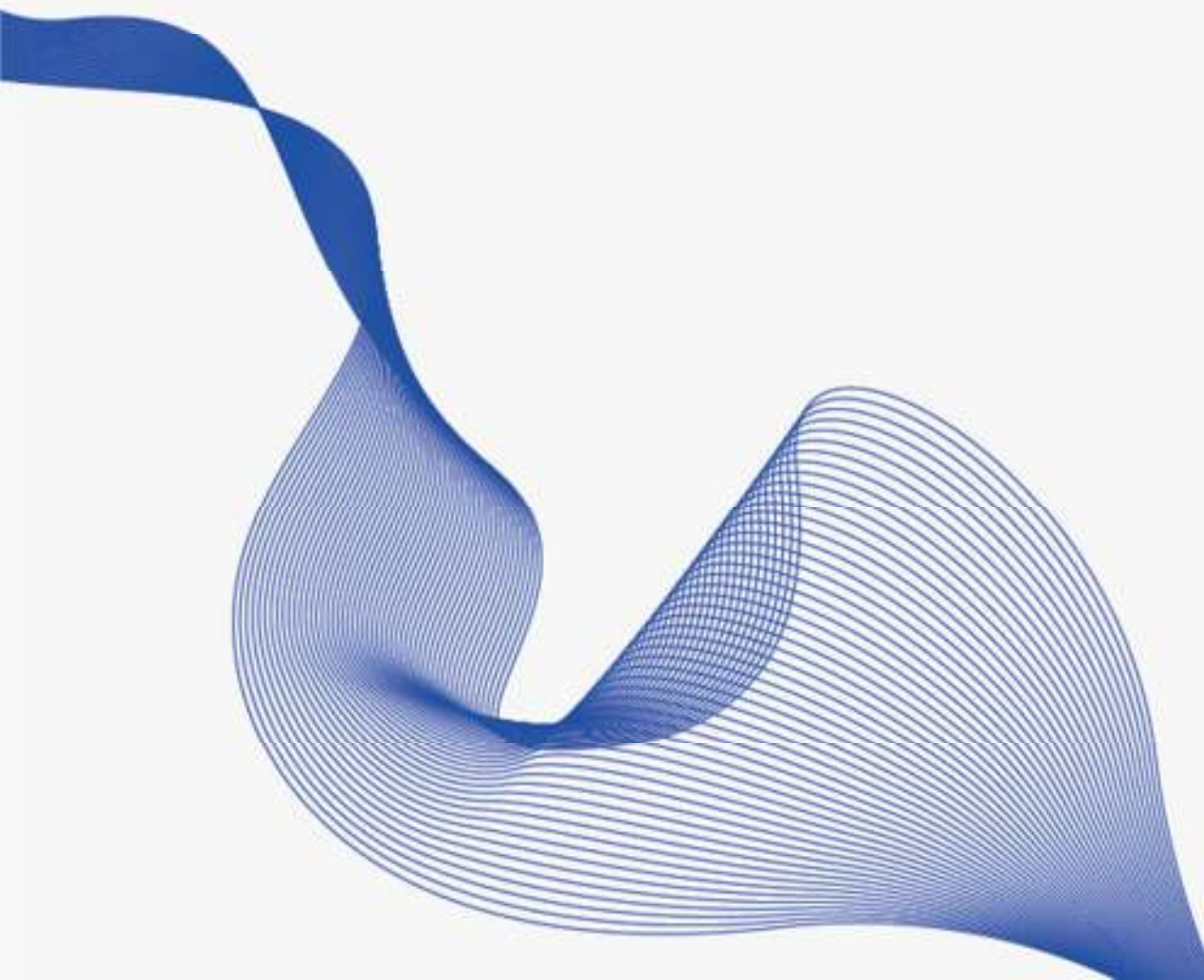
PRACOWNIA HTA

ANALIZA WPŁYWU NA SYSTEM OCHRONY ZDROWIA i ANALIZA RACJONALIZACYJNA

Immunoglobulina ludzka normalna do podania
dożylnego (Octagam® / Octagam 10%®) w leczeniu
pacjentów z zespołem Guillain-Barre

Wersja 1.00
Kraków, lipiec 2014

Autorzy:



Pracownia HTA Magdalena Mrożek-Gąsiorowska, Marcin Gąsiorowski, Oskar Pankiewicz S.C.

ul. Rusznikarska 12/42

31-261 Kraków

tel.: +48 12 444 10 92

fax: +48 12 444 10 93

e-mail: biuro@pracowniaHTA.pl

www.pracowniaHTA.pl

Autorzy analizy i ich wkład w opracowanie analizy:

████████████████████ analiza danych i wyników, opracowanie arkusza kalkulacyjnego,
formułowanie treści dokumentu, edycja dokumentu

████████████████████ korekta obliczeń, kontrola założeń i ostatecznej wersji
dokumentu

████████████████████ kontrola założeń i ostatecznej wersji, formułowanie treści dokumentu

Projekt sfinansowany i zrealizowany na zlecenie firmy Octapharma Poland Sp. z o.o.

Brak innego konfliktu interesów zgłoszony przez wszystkich autorów analizy

Projekt został sfinansowany i zrealizowany na zlecenie:

Octapharma Poland Sp. z o.o.

ul. Domaniewska 39 A

02-672 Warszawa

Kopiowanie, powielanie lub jakiegokolwiek inne wykorzystywanie tekstu w całości lub we fragmentach bez zgody właściciela praw majątkowych – zabronione.

Spis treści

Streszczenie	6
1. Cel i zakres analizy	8
2. Problem zdrowotny oraz oceniana interwencja i technologia opcjonalna	9
3. Oszacowanie rocznej liczebności populacji	10
3.1. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których oceniana technologia może być zastosowana.....	10
3.2. Populacja, w której oceniana technologia jest obecnie stosowana.....	12
3.3. Populacja docelowa wskazana we wniosku	12
4. Metodyka analizy wpływu na budżet płatnika	14
4.1. Sytuacja kliniczna	14
4.2. Horyzont czasowy analizy.....	14
4.3. Perspektywa analizy	15
4.4. Dyskontowanie.....	15
4.5. Scenariusze i warianty analizy.....	15
4.6. Sposób przeprowadzenia analizy	16
4.7. Forma analizy	17
5. Dane wejściowe i założenia analizy wpływu na budżet płatnika.....	18
5.1. Parametry uwzględnione w analizie.....	18
5.2. Obecne i wnioskowane warunki objęcia refundacją produktów leczniczych Octagam / Octagam 10%.....	23
5.3. Założenia dotyczące kwalifikacji ocenianych produktów leczniczych do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu.....	24
5.4. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na refundację ocenianych produktów leczniczych.....	24
5.5. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym stanie klinicznym.....	24
5.6. Dane kosztowe uwzględnione w analizie.....	25

5.7. Zestawienie danych wejściowych dla poszczególnych scenariuszy analizy	26
6. Wyniki analizy wpływu na budżet płatnika.....	27
6.1. Wyniki dla poszczególnych wariantów analizy.....	27
6.2. Wyniki dla poszczególnych scenariuszy z analizą wrażliwości	31
7. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz inne sektory publiczne	34
8. Aspekty etyczne i społeczne	35
9. Analiza racjonalizacyjna	37
10. Wnioski końcowe.....	38
11. Bibliografia.....	39
12. Spis tabel.....	41
13. Spis rysunków	42

Wykaz skrótów i akronimów

AE	Analiza ekonomiczna (<i>Economic Analysis</i>)
AK	Analiza Kliniczna (<i>Clinical Analysis</i>)
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych (<i>Agency for Health Technology Assessment in Poland</i>)
APD	Analiza Problemu Decyzyjnego (<i>Decision Problem Analysis</i>)
CHB	Cena hurtowa brutto
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego (<i>Summary of Product Characteristics</i>)
DGL	Departament Gospodarki Lekami
GBS	Zespół Guillain-Barre (<i>Guillain-Barre Syndrome</i>)
GUS	Główny Urząd Statystyczny (<i>Central Statistical Office</i>)
HTA	Ocena technologii medycznych (<i>Health Technology Assessment</i>)
i.v.	dożylnie (<i>intravenous</i>)
IG	Immunoglobuliny (<i>Immunoglobulin</i>)
IVIG	Immunoglobuliny do podania dożylnego (<i>intravenous immunoglobulin</i>)
IVIG LSzp	IVIG finansowane w ramach leczenia szpitalnego
IVIG PL	IVIG finansowane w ramach programu lekowego
JGP	Jednorodne Grupy Pacjentów
MAX	Wartość maksymalna / scenariusz maksymalny
MIN	Wartość minimalna / scenariusz minimalny
MZ	Minister Zdrowia (<i>Ministry of Health</i>)
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia (<i>National Health Fund</i>)
PE	Plazmafereza lecznicza (<i>Plasma Exchange</i>)
PICO	Populacja, Interwencja, Komparator, Efekty zdrowotne (<i>Population, Intervention, Comparator, Outcome</i>)
s.c.	podskórnice (<i>subcutaneous</i>)
UCZ	Urzędowa cena zbytu

Streszczenie

Cel analizy

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia było oszacowanie przyszłych wydatków płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia) związanych z podjęciem decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego immunoglobulin do podania dożylnego (produkty lecznicze Octagam® oraz Octagam 10%®) w leczeniu pacjentów z zespołem Guillain-Barre, zgodnie ze wskazaniami do stosowania określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (utworzenie nowego programu lekowego „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”).

Metodyka

Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego w 2-letnim horyzoncie czasowym obejmującym okres od początku stycznia 2015 roku do końca grudnia 2016 roku. Populację stanowili pacjenci z zespołem Guillain-Barre, kwalifikujący się do leczenia w programie. Liczebność populacji oszacowana została w oparciu o wskaźniki zapadalności w poszczególnych podgrupach wiekowych, uwzględniając prognozowaną wielkość populacji Polski w latach 2015-2016. Dane NFZ posłużyły natomiast do określenia aktualnych kosztów leczenia GBS w Polsce. Cenę ocenianych produktów leczniczych oparto na aktualnym Obwieszczeniu MZ z dnia 24 czerwca 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2014 roku.

W analizie przyjęto dwa możliwe scenariusze: aktualny (istniejący) oraz nowy (analizowany). Scenariusz aktualny zakłada brak finansowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego immunoglobulin ludzkich w leczeniu GBS, w scenariuszu nowym przyjęto natomiast, że immunoglobuliny do podawania dożylnego (IVIg) w tym wskazaniu będą finansowane z budżetu płatnika publicznego w ramach programu lekowego. Dla każdego ze scenariuszy analizowano wyniki, uwzględniając różną wielkość populacji leczonej immunoglobulinami, a także zmianę założeń dotyczących średniej masy ciała chorych z GBS oraz udziałów w rynku analizowanych preparatów (łącznie 6 możliwych scenariuszy).

Zgodnie z wymogami Rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań oraz Wytycznymi AOTM przedstawiono wyniki analizy w 3 wariantach: najbardziej prawdopodobnym, minimalnym oraz maksymalnym. Ze względu na to, iż, tak jak wykazano w Analizie ekonomicznej, IVIG finansowane w ramach programu lekowego są opcją opłacalną kosztowo względem IVIG finansowanych w ramach leczenia szpitalnego bez względu na przyjęte wartości parametrów wejściowych, wydatki płatnika publicznego w żadnym ze scenariuszy nowych nie będą wyższe od wydatków płatnika publicznego w scenariuszach aktualnych, zatem wariant minimalny zakłada najniższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym (najmniejsze szacowane oszczędności), natomiast wariant maksymalny zakłada najwyższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym (najwyższe szacowane oszczędności).

W ramach analizy zidentyfikowano następujące kategorie bezpośrednich kosztów medycznych: koszt hospitalizacji (obejmujący koszt diagnostyki i kwalifikacji do leczenia oraz koszt podania i monitorowania terapii), a także koszt immunoglobulin. Koszty wyznaczono w oparciu o dane przedstawione w Analizie ekonomicznej.

Wyniki analizy

Prognozowana wielkość populacji leczonej immunoglobulinami w ramach programu lekowego

Prognozowana wielkość populacji chorych, którzy w danym roku będą leczeni immunoglobulinami ludzkimi w terapii GBS w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji ocenianych produktów leczniczych w tym wskazaniu w ramach programu lekowego wynosić będzie w wariancie najbardziej prawdopodobnym 508 pacjentów w 2015 r. i w 2016 roku. Dla wariantu minimalnego populacja ta będzie wynosić odpowiednio 285 pacjentów w obydwu analizowanych latach, natomiast dla wariantu maksymalnego odpowiednio 952 oraz 951 pacjentów.

Wyniki analizy wpływu na budżet

Realizacja scenariusza „nowego” w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje zmniejszenie wydatków (biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń) z perspektywy płatnika publicznego w wariancie prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym) o 9,7 mln zł (5,5 mln zł; 18,2 mln zł) zarówno w 2015 roku, jak również w 2016 roku.

Wnioski końcowe

Pozytywna decyzja dotycząca rozpoczęcia finansowania ze środków publicznych immunoglobulin ludzkich w ramach programu lekowego w leczeniu chorych z zespołem Guillain-Barre prowadzi do znacznych oszczędności nakładów finansowych na leczenie tych pacjentów w stosunku do nierozpoczęcia finansowania tych leków w ocenianym wskazaniu w ramach programu lekowego. Należy podkreślić fakt, że immunoglobuliny ludzkie w analizowanym wskazaniu mogą być stosowane przez wąską grupę chorych (najprawdopodobniej około 500 chorych rocznie).

1. Cel i zakres analizy

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia było oszacowanie przyszłych wydatków płatnika publicznego (Narodowy Fundusz Zdrowia) związanych z podjęciem decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego immunoglobulin do podania dożylnego (produkty lecznicze Octagam® oraz Octagam 10%®) w leczeniu pacjentów z zespołem Guillain-Barre, zarówno dorosłych jak również dzieci, zgodnie ze wskazaniami do stosowania określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego (utworzenie nowego programu lekowego „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”).

W ramach analizy porównano prognozowane wydatki ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym wskazaniu z uwzględnieniem terapii IVIG w ramach programu lekowego (scenariusz nowy) z wydatkami w przypadku obecnego sposobu finansowania leczenia przetoczeniami immunoglobulin w ramach leczenia szpitalnego – scenariusz aktualny. Część pacjentów z GBS może być leczonych z zastosowaniem plazmaferezy leczniczej, jednak ze względu na to, iż w związku z wprowadzeniem nowego programu lekowego zmieni się tylko sposób finansowania terapii z wykorzystaniem immunoglobulin, oceniono, iż pacjenci kwalifikowani obecnie do terapii plazmaferezą, byłoby również leczeni z stosowaniem tej terapii po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego.

Niniejszy dokument składa się z analizy wpływu na budżet płatnika (rozdziały 4-6) oraz analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych i inne sektory publiczne (rozdział 7), a także zestawienia aspektów etycznych i społecznych związanych z podjęciem pozytywnej decyzji o finansowaniu ocenianych interwencji ze środków publicznych w analizowanym wskazaniu w ramach programu lekowego (rozdział 8).

Analiza została opracowana w związku z ubieganiem się przez Podmiot odpowiedzialny, firmę Octapharma Poland Sp. z o.o., o finansowanie produktu leczniczego Octagam® oraz Octagam 10%® ze środków publicznych w wyżej wymienionym wskazaniu w ramach programu lekowego.

2. Problem zdrowotny oraz oceniana interwencja i technologia opcjonalna

Populację docelową dla produktu leczniczego Octagam® / Octagam 10%® w niniejszej analizie stanowią pacjenci z zespołem Guillain-Barre, zarówno dorośli, jak również dzieci. Opis problemu zdrowotnego przedstawiono w analizie problemu decyzyjnego (APD), będącej częścią raportu HTA dla ocenianych technologii medycznych [5].

W analizie tej (APD) przedstawiono również opis ocenianej interwencji, a także opis technologii opcjonalnych (tj. procedur medycznych w rozumieniu art. 5 pkt 42 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, możliwych do zastosowania w danym stanie klinicznym, we wnioskowanym wskazaniu, dostępnych na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej), z wyszczególnieniem refundowanych technologii opcjonalnych (technologie opcjonalne finansowane ze środków publicznych na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej). [5]

3. Oszacowanie rocznej liczebności populacji

3.1. Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których oceniana technologia może być zastosowana

Zgodnie ze wskazaniami do stosowania, zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego Octagam® / Octagam 10%®, immunoglobulina ludzka do podania dożylnego może być stosowana w:

1. leczeniu substytucyjnym u dorosłych, dzieci i młodzieży (0-18 lat) w przypadku:

- Zespołów pierwotnego niedoboru odporności z upośledzeniem wytwarzania przeciwciał,
- Hipogammaglobulinemii i nawracających infekcji bakteryjnych u pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową, u których antybiotykoterapia profilaktyczna nie dała zadowalających wyników,
- Hipogammaglobulinemii i nawracających infekcji bakteryjnych u pacjentów w fazie plateau szpiczaka mnogiego, którzy nie reagowali na immunizację przeciwko pneumokokom,
- Hipogammaglobulinemii u pacjentów po allogenicznym przeszczepie macierzystych komórek krwiotwórczych (ang. *haematopoietic stem cell transplantation*; HSCT),
- Wrodzonego zespołu AIDS z nawracającymi infekcjami bakteryjnymi;

2. immunomodulacji u dorosłych, dzieci i młodzieży (0-18 lat) w następujących przypadkach:

- Pierwotna małopłytkowość immunologiczna (ITP) u pacjentów z wysokim ryzykiem krwawienia lub przed zabiegiem chirurgicznym w celu skorygowania liczby płytek krwi,
- Zespół Guillain Barré,
- Choroba Kawasaki. [5]

Poniżej w tabeli przedstawiono oszacowanie rocznej liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których oceniana technologia (IVIg) może być zastosowana.

Oszacowano, iż łączna roczna liczebność osób, u których IVIG mogą być zastosowane wynosi od 6 067 do 6 829 osób i największy udział w tej grupie mają pacjenci z pierwotną małopłytkowością immunologiczną. Przedstawione poniżej wielkości populacji w poszczególnych wskazaniach są tylko szacunkowe i najprawdopodobniej zawyżone (duże ryzyko błędu oszacowania populacji istnieje we wskazaniach do stosowania, które nie były przedmiotem niniejszej analizy. Oszacowanie populacji dla niektórych ze wskazań, z wyjątkiem PNO oraz GBS, opiera się na danych uzyskanych w sposób niesystematyczny oraz na założeniach przyjętych przez autorów analizy.

Tabela 1. Roczna liczebność populacji, w której IVIG mogą być zastosowane

Rozpoznanie	Roczna liczebność populacji	Źródło
Zespół pierwotnego niedoboru odporności z upośledzeniem wytwarzania przeciwciał	593	Pacjenci z rozpoznaniem PNO z przewagą niedoboru przeciwciał (dzieci i dorośli) wymagający terapii substytucyjnej immunoglobulinami (Bernatowska 2014 [8])
Hipogammaglobulinemia i nawracające infekcje bakteryjne u pacjentów z przewlekłą białaczką limfocytową, u których antybiotykoterapia profilaktyczna nie dała zadowalających wyników	829	Oszacowania na podstawie Raportu AOTM- OT- 431-5/2014 Dazatynib we wskazaniu: przewlekła białaczka limfocytowa (C91.1) Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej [15], opinii eksperckiej [16] oraz wyników przeglądu Cochrane Collaboration [17]
Hipogammaglobulinemia i nawracające infekcje bakteryjne u pacjentów w fazie plateau szpiczaka mnogiego, którzy nie reagowali na immunizację przeciwko pneumokokom	560 ^b	Oszacowania na podstawie Raportu AOTM-OT-0159 - Velcade® (bortezomib) w leczeniu nawrotowego lub opornego na leczenie szpiczaka mnogiego Raport ws. oceny świadczenia opieki zdrowotnej [18] oraz wyników przeglądu Cochrane Collaboration [19]
Hipogammaglobulinemia u pacjentów po allogenicznym przeszczepie macierzystych komórek krwiotwórczych (ang. <i>haematopoietic stem cell transplantation</i>)	346	Oszacowania na podstawie danych Poltransplant za rok 2012 [11] oraz pracy Frangoul 2013 [12]
Wrodzony zespół AIDS z nawracającymi infekcjami bakteryjnymi	39	Oszacowania na podstawie danych PZH [13]
Pierwotna małopłytkowość immunologiczna u pacjentów z wysokim ryzykiem krwawienia lub przed zabiegiem chirurgicznym w celu skorygowania liczby płytek krwi	3 228 ^a	Oszacowania na podstawie opracowania Zawilska 2009 [14]
Choroba Kawasaki	187-281	Obliczenia własne na podstawie danych epidemiologicznych z pracy Jasiński 2007 [20]. Wykorzystano również dane GUS dotyczące danych demograficznych z 2011 r., przyjmując liczbę dzieci w wieku 0-5 lat na 2,5 mln osób.
Zespół Guillain Barré	285-953	Oszacowania własne z uwzględnieniem wyników przeglądów systematycznych Sejvar 2011 [10] oraz McGrogan 2009 [9] – na podstawie współczynników zapadalności w poszczególnych podgrupach wiekowych obliczonych w analizie regresji (Sejvar 2011), biorąc pod uwagę liczebność populacji polskiej w poszczególnych podgrupach wiekowych w 2013 r. (szczegółowe dane przedstawiono w analizie BIA dla IVIG w leczeniu GBS – PracowniaHTA 2014).
Łącznie	6 067 – 6 829 osoby	

^a - dane na podstawie badania PLATE, w którym uczestniczyły 42 ośrodki specjalistyczne w Polsce (w badaniu nie uczestniczyły ośrodki reprezentujące woj. lubuskie);

^b - przy założeniu, że 50% populacji znajduje się w fazie plateau.

3.2. Populacja, w której oceniana technologia jest obecnie stosowana

Uwzględniając przedstawione powyżej oszacowania (rozdział 3.1) oraz obecny sposób finansowania immunoglobulin ludzkich ze środków publicznych i fakt, iż w przypadku konieczności leczenia substytucyjnego nie ma najczęściej innej terapii opcjonalnej niż immunoglobuliny, ocenia się, iż liczba osób, u których IVIG są obecnie stosowane wynosi od 5 919 do 6 681 osób rocznie (populacja ta może być zawyżona szczególnie ze względu na pewne przeszacowanie populacji pacjentów z pierwotną małopłytkowością immunologiczną, którzy wymagają terapii immunomodulującej). Część wskazań do stosowania IVIG pokrywa się ze wskazaniami do stosowania immunoglobulin do podania podskórnego, jednak terapia ta jest obecnie dostępna w zasadzie wyłącznie dla dzieci z pierwotnymi niedoborami odporności w ramach programu lekowego. Zgodnie z aktualnymi danymi 148 dzieci i dorosłych jest obecnie leczonych immunoglobulinami do podania podskórnego (pacjenci z rozpoznaniem PNO z przewagą niedoboru przeciwciał wymagający terapii substytucyjnej immunoglobulinami i otrzymujący infuzje immunoglobulin drogą podskórną (Bernatowska 2014 [8])), dlatego liczbę tę odjęto od populacji oszacowanej w rozdziale 3.1.

Tabela 2. Roczna liczebność populacji, w której IVIG są obecnie stosowane

Terapia	Roczna liczebność populacji	Źródło
IVIG	5 919 – 6 681	rozdział 3.1 i uwzględnienie pacjentów leczonych SCIG (opis powyżej)
łącznie	5 919 – 6 681 osoby	

3.3. Populacja docelowa wskazana we wniosku

Odnaleziono dwa przeglądy systematyczne, w których oceniano wskaźniki epidemiologiczne dotyczące GBS na świecie – McGrogan 2009 [9] oraz Sejvar 2011 [10]. Większość, odnalezionych w ramach tych przeglądów systematycznych, doniesień naukowych dotyczyła występowania GBS w Europie oraz Ameryce Północnej. Nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy poszczególnymi krajami w odniesieniu do częstości zachorowalności na GBS ani istotnej statystycznie zmiany częstości zachorowań na GBS w czasie, dlatego ocenia się, iż prezentowane poniżej wskaźniki epidemiologiczne można odnieść do populacji polskiej.

Na podstawie przeglądu systematycznego McGrogan 2009 ocenia się, iż częstość zachorowania na GBS wynosi od 1,1/100 000/rok do 1,8/100 000/rok (do przeglądu włączono łącznie 63 doniesienia naukowe opublikowane pomiędzy 1980 a 2008 rokiem; żadne z badań uwzględnionych w tym przeglądzie nie dotyczyło populacji polskiej, jednak oceniono, że częstość zachorowania pomiędzy badaniami była bardzo podobna, a w pracy nie wykazano, by częstość zachorowania różniła się istotnie statystycznie w

zależności od kraju – większość prac dotyczyła Europy i Ameryki Północnej (współczynnik zachorowalności wynosił od 0,84 do 1,91/100 000/rok) i nie można było ocenić żadnego trendu zachorowalności ze względu na położenie geograficzne). Wykazano, iż częstość zachorowania na GBS rośnie wraz z wiekiem i jest znacznie wyższa u osób powyżej 50 roku życia - częstość zachorowania rośnie z 1,7/100 000/rok do 3,3/100 000/rok. U dzieci (<16 roku życia) częstość zachorowania na GBS jest niższa i wynosi około 0,6/100 000/rok (od 0,34/100 000/rok do 1,34/100 000/rok). Nie wykazano istotnej statystycznie różnicy w częstości zachorowania na GBS w zależności od pory roku. Na podstawie badań uwzględnionych w przeglądzie McGrogan 2009, w których raportowano częstość infekcji przed wystąpieniem GBS, oceniono, iż infekcja (głównie infekcja górnych dróg oddechowych, a także infekcja układu pokarmowego) wystąpiła u 40-70% pacjentów przed pojawieniem się objawów GBS. Większość pacjentów ze zdiagnozowanym GBS, ze względu na specyfikę choroby, wymaga hospitalizacji. [9]

Na podstawie przeglądu systematycznego Sejvar 2011 (w pracy uwzględniono wyłącznie badania przeprowadzone w Europie oraz Ameryce Północnej; włączono 16 doniesień naukowych, z których żadne nie dotyczyło populacji polskiej) również szacuje się, iż częstość zachorowania na GBS rośnie wraz z wiekiem oraz jest wyższa u mężczyzn niż u kobiet. Współczynnik surowy dla zachorowań na GBS wynosi od 0,81/100 000/rok do 1,89/100 000/rok (mediana 1,11/100 000/rok). U dzieci (0-9 lat) współczynnik ten jest kilkakrotnie niższy (0,62/100 000/rok) niż u starszych dorosłych w wieku 80-89 lat (2,66/100 000/rok). [10]

Uwzględniając współczynniki zapadalności w poszczególnych podgrupach wiekowych obliczonych w analizie regresji (Sejvar 2011), biorąc pod uwagę liczebność populacji polskiej w poszczególnych podgrupach wiekowych w 2013 r. (dane GUS) (rozdział 5.1.1 i rozdział 5.1.2), oszacowano, iż populacja docelowa (pacjenci z zespołem Guillain-Barre) to od 285 do 953 osób rocznie.

Tabela 3. Roczna liczebność populacji docelowej

Populacja	Liczba osób /rok
pacjenci z zespołem Guillain-Barre w Polsce (rozdział 5.1.1 i rozdział 5.1.2)	285-953

4. Metodyka analizy wpływu na budżet płatnika

4.1. Sytuacja kliniczna

Analiza wpływu na budżet płatnika (podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych) została przeprowadzona zgodnie z Wytycznymi Oceny Technologii Medycznych Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) [1] i spełnia minimalne wymagania dotyczące analiz wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych zgodnie z Ustawą z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2011 r. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.) [7] oraz Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r. Nr 0 poz. 388). [6].

W ramach analizy problemu decyzyjnego (APD) [5] jasno sprecyzowano badaną interwencję – immunoglobuliny ludzkie w podaniu dożylnym, stosowaną w określonej sytuacji klinicznej. Poniżej przedstawiono zagadnienie kontekstu klinicznego według schematu PICO (populacja, interwencja, komparator, wyniki):

Populacja: pacjenci z zespołem Guillain-Barre, zarówno dorośli, jak również dzieci

Interwencja: immunoglobuliny i.v. – leczenie z zastosowaniem ocenianych produktów leczniczych w ramach programu lekowego

Komparator: immunoglobuliny i.v. stosowane w ramach leczenia szpitalnego

Wyniki: inkrementalne wydatki ponoszone przez płatnika w przypadku decyzji o finansowaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego produktów Octagam® / Octagam 10%® w leczeniu pacjentów z GBS

4.2. Horyzont czasowy analizy

W analizie wpływu na budżet płatnika przyjęto 2-letni horyzont czasowy (przyjęto horyzont czasowy obejmujący okres od początku stycznia 2015 roku do końca grudnia 2016 roku). Długość przyjętego horyzontu czasowego odpowiada długości obowiązywania pierwszej decyzji refundacyjnej dla

wnioskowanych technologii medycznych w analizowanym wskazaniu przy założeniu rozpoczęcia finansowania ze środków publicznych leków w tym wskazaniu od stycznia 2015 roku. Dodatkowo, z uwagi na fakt, iż technologia wnioskowana jest już finansowana ze środków publicznych, już w pierwszym roku po podjęciu decyzji o finansowaniu technologii wnioskowanej ze środków publicznych w ramach programu lekowego u pacjentów z GBS zostanie osiągnięta równowaga na rynku (horyzont czasowy analizy wpływu na budżet obejmujący przewidywany przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku w tym przypadku nie ma zastosowania).

4.3. Perspektywa analizy

Zgodnie z wnioskiem podmiotu odpowiedzialnego Octapharma Poland Sp. z o.o. o objęcie refundacją ocenianych produktów leczniczych, finansowanie ocenianych technologii medycznych ze środków publicznych nie uwzględnia współpłacenia świadczeniobiorcy za produkty lecznicze Octagam® oraz Octagam 10%® (utworzenie programu lekowego, w ramach którego produkty te będą wydawane świadczeniobiorcy bezpłatnie).

Jak wskazano w Analizie ekonomicznej, w ocenianym wskazaniu koszty leczenia ponoszone są wyłącznie przez płatnika publicznego, dlatego wyniki analizy z perspektywy płatnika publicznego są takie jak wyniki tej analizy z perspektywy wspólnej płatnika publicznego i świadczeniobiorcy.

4.4. Dyskontowanie

Analiza wpływu na budżet płatnika przedstawia przepływ środków finansowych w czasie, dlatego nie zastosowano dyskontowania kosztów. [1]

4.5. Scenariusze i warianty analizy

W ramach analizy wpływu na budżet porównano nakłady finansowe ponoszone przez płatnika publicznego w przypadku podjęcia decyzji o finansowaniu produktów leczniczych Octagam® / Octagam 10%® ze środków publicznych w ramach programu lekowego w ocenianym wskazaniu (pacjenci z GBS) z aktualną sytuacją, gdy nie funkcjonuje program lekowy w tym wskazaniu.

W analizie wzięto pod uwagę dwa scenariusze: scenariusz aktualny oraz scenariusz nowy. Scenariusz aktualny jest odzwierciedleniem obecnej sytuacji, w której chorzy z zespołem Guillain-Barre są leczeni przetoczeniami immunoglobulin w ramach leczenia szpitalnego. W scenariuszu nowym rozważono natomiast sytuację, w której immunoglobuliny ludzkie będą finansowane ze środków publicznych w ramach programu lekowego w terapii pacjentów z GBS (utworzenie nowego programu lekowego).

W ramach niniejszej analizy przedstawiono 6 scenariuszy różniących się wielkością populacji leczonej immunoglobulinami, a także założeniami dotyczącymi masy ciała chorych z GBS oraz udziałów w rynku analizowanych preparatów (jednokierunkowa analiza wrażliwości).

Tabela 4. Scenariusze analizy wpływu na budżet płatnika

Scenariusz	Wielkość populacji leczonej IG	Masa ciała [kg]	Udziały w rynku analizowanych preparatów [%]
Scenariusz 1	średnia	średnia	scenariusz podstawowy
Scenariusz 2	minimalna		
Scenariusz 3	maksymalna		
Scenariusz 4	średnia	minimalna	analiza wrażliwości
Scenariusz 5		maksymalna	
Scenariusz 6		średnia	

Dodatkowo zgodnie z wymogami Rozporządzenia Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań [6] oraz Wytycznymi AOTM [1] przedstawiono 3 warianty:

- wariant najbardziej prawdopodobny,
- wariant minimalny – zakładający najniższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym,
- wariant maksymalny – zakładający najwyższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym.

Ze względu na to, iż, tak jak wykazano w Analizie ekonomicznej, immunoglobuliny ludzkie finansowane w ramach programu lekowego są opcją opłacalną kosztowo względem immunoglobulin ludzkich finansowanych w ramach leczenia szpitalnego bez względu na przyjęte wartości parametrów wejściowych, wydatki płatnika publicznego w żadnym ze scenariuszy nowych nie będą wyższe od wydatków płatnika publicznego w scenariuszach aktualnych.

4.6. Sposób przeprowadzenia analizy

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono w następujący sposób:

1. Zdefiniowano populację docelową – pacjenci z zespołem Guillain-Barre niezależnie od wieku (populacja minimalna, średnia, maksymalna);
2. Przeprowadzono prognozę liczebności populacji w kolejnych 2 latach, począwszy od stycznia 2015 roku;

3. Oszacowano udział w rynku ocenianych interwencji, a także poszczególnych preparatów - rozpowszechnienie poszczególnych technologii medycznych przed oraz po podjęciu decyzji o refundacji ze środków publicznych w ramach programu lekowego produktów leczniczych Octagam® oraz Octagam 10%® w ocenianym wskazaniu;
4. Na podstawie aktualnego limitu finansowania immunoglobulin ludzkich w ramach wykazu leków refundowanych wyznaczono średni koszt IVIG z perspektywy płatnika publicznego;
5. Wyznaczono średni koszt leczenia immunoglobulinami w ramach leczenia szpitalnego oraz w ramach proponowanego programu lekowego;
6. Obliczono przewidywane wydatki płatnika publicznego w dwóch kolejnych latach związane z finansowaniem leczenia GBS dla scenariusza aktualnego oraz scenariusza nowego w zdefiniowanej populacji;
7. Obliczono wydatki inkrementalne – różnicę między wydatkami w scenariuszu nowym a wydatkami w scenariuszu aktualnym (ujemne wartości wydatków inkrementalnych wskazują na oszczędności finansowe płatnika);
8. Przeprowadzono analizę wrażliwości dla kluczowych parametrów analizy oraz parametrów cechujących się największą niepewnością oszacowania.

4.7. Forma analizy

Analiza wpływu na budżet składa się z dwóch części – dokumentu w formacie MS Word 2010 oraz arkusza kalkulacyjnego Excel, umożliwiającego obliczenia prognozowanych wydatków płatnika na leczenie populacji docelowej. Obliczenia przeprowadzono w arkuszu programu Microsoft Excel 2010.

5. Dane wejściowe i założenia analizy wpływu na budżet płatnika

5.1. Parametry uwzględnione w analizie

Do parametrów uwzględnionych w niniejszej analizie należą:

- wielkość populacji,
- rozpowszechnienie poszczególnych technologii medycznych (udział w rynku),
- masa ciała pacjentów z zespołem Guillain-Barre,
- koszty związane z leczeniem IVIG chorych z GBS w ramach programu lekowego,
- koszty związane z leczeniem IVIG chorych z GBS w ramach leczenia szpitalnego.

Uwzględnione w analizie koszty to bezpośrednie koszty medyczne ponoszone przez płatnika w związku z leczeniem pacjentów z GBS. W ramach niniejszej analizy uwzględniono kategorie kosztowe zidentyfikowane w Analizie ekonomicznej.

5.1.1. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że MZ wyda decyzję o objęciu refundacją

Od 285 do 953 pacjentów wskazanych jako populacja docelowa (rozdział 3.3) to chorzy z GBS, którzy wymagają terapii immunoglobulinami w Polsce. W przypadku, gdy MZ wyda decyzję o objęciu refundacją ocenianej w niniejszej analizie technologii medycznej, zmieni się wyłącznie sposób finansowania terapii GBS w Polsce. Dlatego oszacowana wielkość populacji docelowej stanowi równocześnie populację, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że MZ wyda pozytywną decyzję o objęciu refundacją immunoglobulin ludzkich w ramach programu lekowego.

Oprócz 285- 953 pacjentów z GBS, którzy będą leczeni w ramach proponowanego programu lekowego, należy uwzględnić również 239 dzieci [8], które obecnie stosują już ocenianą technologię w ramach programu lekowego dla dzieci z PNO.

Tabela 5. Roczna liczebność populacji, w której IVIG będą stosowane przy założeniu, że MZ wyda decyzję o objęciu refundacją w ramach programu lekowego u pacjentów z GBS

Populacja	Roczna liczebność populacji	Źródło
dzieci	239	Dzieci z PNO leczone IVIG (Bernatowska 2014 [8])
dorośli i dzieci	285-953	Pacjenci z GBS - rozdział 3.3
łącznie		524-1192 osoby

5.1.2. Wielkość populacji i warianty populacyjne przyjęte w analizie

Zgodnie z wnioskiem o objęcie refundacją ocenianych produktów leczniczych w leczeniu chorych z zespołem Guillain-Barre, populacja docelowa jest zgodna ze wskazaniami do stosowania określonymi w ChPL dla tych produktów i obejmuje pacjentów z GBS, zarówno dorosłych, jak również dzieci.

Liczbę pacjentów z GBS, którzy mogą być leczeni immunoglobulinami oszacowano na podstawie przeglądu Sejvar 2011 [10]. Uwzględniając współczynniki zapadalności w poszczególnych podgrupach wiekowych obliczonych w analizie regresji w tym przeglądzie systematycznym (Tabela 6) oraz biorąc pod uwagę liczebność populacji polskiej w poszczególnych podgrupach wiekowych w 2013 r. (dane GUS) [23], obliczono liczbę nowych przypadków GBS na rok 2013. (Tabela 7)

W analizie założono zatem, uwzględniając prognozę liczebności populacji polskiej na lata 2015-2016, iż zarówno w 2015 r., jak również w 2016 r. immunoglobulinami będzie leczonych 508 pacjentów z GBS. Zgodnie ze statystykami JGP prezentowanymi na stronie NFZ, w 2013 roku rozliczono 596 hospitalizacji pacjentów z GBS (grupa JGP A30 oraz A31). Różnice pomiędzy oszacowaną wielkością populacji pacjentów z GBS leczonych immunoglobulinami a liczbą chorych z GBS, którzy byli hospitalizowani w 2013 r. może wynikać z tego, iż u części pacjentów stosuje się plazmaferezę leczniczą.

Założenia odnośnie liczebności pacjentów, którzy będą leczeni immunoglobulinami w poszczególnych latach wpływają na wyniki analizy wpływu na budżet, dlatego parametr ten uwzględniono w analizie wrażliwości, przyjmując, iż wielkość populacji leczonych IG w ramach programu lekowego będzie wynosić minimalnie 285 pacjentów w latach 2015-2016 (scenariusz minimalny) oraz 952 i 951 pacjentów w roku 2015 i 2016 (scenariusz maksymalny) (najniższe i najwyższe wskaźniki zapadalności zgodnie z Sejvar 2011 z uwzględnieniem wielkości populacji w Polsce).

Tabela 6. Wskaźnik zapadalności na GBS / 100 tys. (Sejvar 2011) [10]

Grupa wiekowa	Wskaźnik zapadalności / 100 tys.		
	Średnia	MIN	MAX
0-9	0,62	0,52	0,75
10-19	0,75	0,60	0,92
20-29	0,90	0,67	1,19
30-39	1,07	0,74	1,56
40-49	1,29	0,80	2,06
50-59	1,54	0,87	2,74
60-69	1,85	0,94	3,64
70-79	2,22	1,01	4,86
80-89	2,66	1,09	6,48

Tabela 7. Kalkulacja populacji docelowej w Polsce w 2013 r.

Grupa wiekowa	Populacja – Polska w 2013 r. (GUS) [23]	Liczba nowych przypadków GBS / rok		
		Średnia	MIN	MAX
0-9	3 940 567	24	20	30
10-19	3 955 168	30	24	36
20-29	5 651 760	35	26	47
30-39	6 239 471	42	29	61
40-49	4 879 816	51	32	81
50-59	5 536 118	61	34	108
60-69	4 409 809	73	37	143
70-79	2 399 808	87	40	192
80-89	1 312 026	105	43	255
RAZEM		508	285	953

Tabela 8. Szacowana liczebność populacji docelowej w latach 2015-2016 przyjęta w analizie

Scenariusz analizy	Liczba pacjentów z GBS leczonych immunoglobulinami		Źródło
	2015	2016	
Scenariusz średni	508	508	Sejvar 2011 [10] oraz dane GUS [[23] oraz prognoza liczebności populacji w Polsce
Scenariusz minimalny	285	285	
Scenariusz maksymalny	952	951	

5.1.3. Rozpowszechnienie analizowanych technologii medycznych (udział w rynku)

Zgodnie z obowiązującym obecnie sposobem finansowania ze środków publicznych leczenia pacjentów z GBS za pomocą terapii immunoglobulinami w scenariuszu aktualnym przyjęto, że wszyscy pacjenci z zespołem Guillain-Barre są obecnie leczeni w warunkach szpitalnych. Mając powyższe na uwadze, w scenariuszu aktualnym przyjęto, że u wszystkich pacjentów z GBS stosowane są obecnie IVIG w ramach leczenia szpitalnego. W scenariuszu nowym przyjęto, że począwszy od 1 stycznia 2015 roku funkcjonować będzie program lekowy „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych” i wszyscy pacjenci z GBS będą leczeni w ramach tego programu. (Tabela 9)

Tabela 9. Sposób finansowania leczenia GBS w Polsce przyjęty w analizie

Interwencja	Program lekowy – GBS (dzieci i dorośli)		Leczenie szpitalne – przetoczenie immunoglobulin	
	Scenariusz aktualny	Scenariusz nowy	Scenariusz aktualny	Scenariusz nowy
IVIG	0,0%	100%	100,0%	0,0%

Nie odnaleziono danych sprzedażowych dla poszczególnych produktów leczniczych immunoglobulin ludzkich w odniesieniu do populacji osób z GBS. Dlatego w niniejszej analizie przyjęto, że udziały poszczególnych preparatów immunoglobulin w łącznym zużyciu produktów o tej samej formie podania będą takie same jak w populacji dzieci aktualnie leczonych w programie leczenia PNO (jedyne refundowane wskazanie do stosowania zgodnie z aktualnym wykazem leków refundowanych). Udziały poszczególnych preparatów Octagam® oraz Octagam 10%® w rynku sprzedaży immunoglobulin do podania dożylnego oszacowano na podstawie danych NFZ dotyczących refundacji preparatów immunoglobuliny ludzkiej w ramach programu lekowego "Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci" w okresie styczeń 2013 – marzec 2014. [24] Na podstawie tych danych oszacowano liczbę sprzedaży w gramach dla poszczególnych preparatów immunoglobulin. Następnie wyznaczono udział poszczególnych preparatów w łącznym zużyciu immunoglobulin o tej samej formie podania (IVIG). (Tabela 10) Przy oszacowaniu udziałów w rynku poszczególnych preparatów IVIG w leczeniu GBS założono, iż udziały poszczególnych produktów leczniczych są takie same niezależnie od wskazania do stosowania i po wprowadzeniu proponowanego programu lekowego wszystkie produkty lecznicze objęte obecnie refundacją, będą również finansowane ze środków publicznych w ramach ocenianego programu lekowego.

Przeprowadzono również analizę wrażliwości dla tego parametru, przyjmując jednakowe wartości udziału w rynku poszczególnych preparatów immunoglobulin do podania dożylnego. Ze względu na to, iż obecnie w wykazie leków refundowanych znajduje się 30 preparatów IVIG, udział w rynku każdego z nich ustalono na poziomie 3,3%. (Tabela 10)

Tabela 10. Udziały ocenianych preparatów w sprzedaży immunoglobulin do podania dożylnego przyjęte w analizie

Preparat immunoglobulin	Udział w sprzedaży	Analiza podstawowa	Analiza wrażliwości
	2013 – III 2014		
Octagam, 2,5 g/50 ml	1,1%	1,1%	3,3%
Octagam, 5 g/100 ml	6,4%	6,4%	3,3%
Octagam, 10 g/200 ml	3,5%	3,5%	3,3%
Octagam 10%, 100 mg/ml	3,0%	3,0%	3,3%
Octagam 10%, 100 mg/ml	1,7%	1,7%	3,3%
Octagam 10%, 100 mg/ml	1,4%	1,4%	3,3%
Octagam 10%, 100 mg/ml	1,6%	1,6%	3,3%

5.1.4. Masa ciała pacjentów z zespołem Guillain-Barre

Jednorazowa dawka immunoglobulin stosowana u pacjentów z GBS zależy od masy ciała chorego, dlatego szacowany przeciętny koszt terapii z zastosowaniem immunoglobulin zależy od przyjętej w obliczeniach wartości średniej masy ciała pacjenta. Nie odnaleziono danych dotyczących średniej masy

ciała pacjenta z GBS w Polsce. Przyjęto założenie, że średnia masa ciała pacjenta z GBS w Polsce nie odbiega od średniej masy ciała osoby w populacji ogólnej Polski. Wartość tego parametru oszacowano z wykorzystaniem danych GUS dotyczących stanu zdrowia ludności Polski [21] oraz stanu zdrowia dzieci i młodzieży w Polsce [22], a także liczebności populacji w poszczególnych przedziałach wiekowych [23] (szczegółowe tabele oraz oszacowania przedstawiono w arkuszu kalkulacyjnym). (Tabela 11)

Na tej podstawie ustalono, iż średnia masa ciała pacjenta z GBS, który wymaga leczenia wynosi 65,80 kg. (Tabela 12)

Ze względu na to, iż analizowany parametr obciążony jest w pewnym stopniu niepewnością oszacowania i ma wpływ na wyniki analizy, uwzględniono go jako jedną ze zmiennych w analizie wrażliwości, sprawdzając, jak zmienią się wyniki końcowe analizy przy przyjęciu innych wartości parametru. Na potrzeby analizy przyjęto zmienność tego parametru w zakresie $\pm 20\%$ (minimalna i maksymalna średnia masa ciała), uzyskując w ten sposób bardzo szeroki rozrzut ocenianego parametru w zakresie ponad 25 kilogramów. (Tabela 12)

Tabela 11. Średnia masa ciała w populacji Polski

Grupa wiekowa	Populacja Polski (31 XII 2013) [23]	Średnia masa ciała [kg] [21, 22]	Średnia ważona masa ciała [kg]
0-9	3 940 567	20,13	65,80
10-19	3 955 168	55,84	
20-29	5 651 760	68,88	
30-39	6 239 471	73,12	
40-49	4 879 816	74,81	
50-59	5 536 118	74,80	
60-69	4 409 809	75,45	
70-79	2 399 808	72,85	
80-89	1 312 026	68,26	

Tabela 12. Wartość średniej masy ciała przyjęta w analizie

Parametr	Masa ciała [kg]	Źródło
Wartość minimalna	52,64	Założenie analizy (-20%)
Wartość średnia	65,80	GUS [21-23]
Wartość maksymalna	78,96	Założenie analizy (+20%)

5.1.5. Schemat i dawkowanie immunoglobulin

Zgodnie z Charakterystykami produktów leczniczych Octagam i Octagam 10% oraz innych immunoglobulin do podania dożylnego, a także proponowanymi zapisami programu lekowego „Leczenie

przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”, immunoglobuliny i.v. w terapii GBS podaje się w schemacie 0,4 g/kg m.c. dziennie przez okres 5 dni. [5]

Na podstawie tych danych przyjęto, iż IVIG są podawane pięciokrotnie w dawce 0,4 g/kg m.c. (przez 5 dni w trakcie hospitalizacji), a całkowita dawka leku wynosi 2 g/kg m.c. pacjenta.

Tabela 13. Schemat leczenia immunoglobulinami przyjęty w analizie

Parametr	
Jednorazowa dawka	0,4 g/kg m.c.
Liczba podań leku	5
Liczba dni terapii	5
Łączna dawka	2 g/kg m.c.

5.2. Obecne i wnioskowane warunki objęcia refundacją produktów leczniczych Octagam / Octagam 10%

Wszystkie preparaty Octagam® oraz Octagam 10%®, których dotyczy niniejsza analiza są już obecnie refundowane ze środków publicznych w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci”. [2, 5]

Wnioskowane warunki objęcia refundacją produktów leczniczych Octagam® oraz Octagam 10%® w ramach programu lekowego „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych” nie obejmują instrumentów dzielenia ryzyka.

Tabela 14. Cena i proponowane warunki objęcia refundacją ocenianych produktów leczniczych w ramach programu lekowego „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”

Nazwa, postać i dawka leku	Zawartość opakowania	EAN	Grupa limitowa	UCZ	CHB	Limit	Odpłatność pacjenta
Octagam, roztwór do infuzji (Immunoglobulinum humanum normale ad usum intravenosum)							
Octagam, 2,5 g/50 ml	1 but.a 50 ml	5909990762514	1066.0, Immunoglobulinum humanum	■	■	■	bezpłatne
Octagam, 5 g/100 ml	1 but.a 100 ml	5909990762613		■	■	■	
Octagam, 10 g/200 ml	1 but.a 200 ml	5909990762712		■	■	■	
Octagam 10%, 100 mg/ml	1 but.a 20 ml	5909990763863		■	■	■	
Octagam 10%, 100 mg/ml	1 but.a 50 ml	5909990763870		■	■	■	
Octagam 10%, 100 mg/ml	1 but.a 100 ml	5909990763887		■	■	■	
Octagam 10%, 100 mg/ml	1 but.a 200 ml	5909990763894		■	■	■	

5.3. Założenia dotyczące kwalifikacji ocenianych produktów leczniczych do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu

Produkty lecznicze Octagam® oraz Octagam 10%® znajdują się w aktualnie obowiązującym wykazie leków refundowanych i finansowane są w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci” w obrębie grupy limitowej 1066.0, Immunoglobulinum humanum.

Wnioskowane warunki objęcia refundacją produktów leczniczych Octagam® oraz Octagam 10%® nie zakładają utworzenia nowej, odrębnej grupy limitowej. Nie zakłada się również zmiany wysokości podstawy limitu finansowania w analizowanej grupie limitowej.

5.4. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na refundację ocenianych produktów leczniczych

Oceniane produkty lecznicze znajdują się w aktualnie obowiązującym wykazie leków refundowanych i finansowane są w ramach programu lekowego „Leczenie pierwotnych niedoborów odporności u dzieci”. Na podstawie informacji o wielkości kwoty refundacji i liczbie zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN, dostępnych na stronie NFZ [24], oszacowano, iż aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na refundację ocenianych produktów leczniczych (Octagam® oraz Octagam 10%®) wynoszą około 0,5 mln zł (wartość refundacji w 2013 r. – 680 tys. zł, natomiast w pierwszym kwartale 2014 r. – 98 tys. zł).

5.5. Aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym stanie klinicznym

Szacowane aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym stanie klinicznym oszacowano na poziomie od 13,17 do 27,27 mln zł. W wydatkach tych brak udziału kosztów refundacji ceny wnioskowanych technologii z uwagi na to, iż oceniane produkty lecznicze nie są refundowane obecnie w ocenianym wskazaniu, a są finansowane w ramach leczenia szpitalnego.

Tabela 15. Szacowane aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym stanie klinicznym

Kategorie kosztowe	2013 r.	Źródło / założenie
Liczba pacjentów z GBS w Polsce / rok	596 (314 – JGP A30; 282 – JGPA31)	Statystyki JGP dostępne na stronie NFZ (za rok 2013)
Koszt hospitalizacji pacjentów / 1 pacjent [zł]	3 640,00	rozdział 5.6 oraz Analiza ekonomiczna
Koszt immunoglobulin / 1 pacjent [zł]	42 120,00 (8 424,00 x 5)	rozdział 5.6 oraz Analiza ekonomiczna
Koszt plazmaferezy / 1 pacjent [zł]	18 460,00 (3 692,00 zł x 5)	rozdział 5.6 oraz Analiza ekonomiczna
Minimalny koszt terapii / 1 pacjenta [zł]	18 460,00	100% pacjentów leczonych PE
Maksymalny koszt terapii / 1 pacjenta [zł]	42 120,00	100% pacjentów leczonych IVIG
WYDATKI całkowite	13,17-27,27 mln zł	x

5.6. Dane kosztowe uwzględnione w analizie

Koszty wyznaczono w oparciu o dane przedstawione w Analizie ekonomicznej. [3]

Analiza została przeprowadzona z perspektywy płatnika publicznego oraz perspektywy wspólnej płatnika publicznego i świadczeniobiorcy, które w tym przypadku są równe (brak współpłacenia pacjenta za udzielane świadczenia mieszczące się w kategoriach kosztowych, które były oceniane w niniejszej analizie).

W analizie uwzględniono koszty odpowiadające zużyciu zasobów w polskiej praktyce klinicznej. Wszystkie różnice w kosztach pomiędzy obiema interwencjami ujawniają się w przyjętym dla analizy horyzoncie czasowym.

Koszty bezpośrednie niemedyczne oraz koszty pośrednie nie były oceniane w ramach niniejszej analizy.

W ramach analizy zidentyfikowano następujące kategorie bezpośrednich kosztów medycznych:

- koszt hospitalizacji (w tym koszt diagnostyki i kwalifikacji do leczenia oraz koszt podania i monitorowania terapii),
- koszt immunoglobulin.

Koszty jednostkowe dla poszczególnych świadczeń zdrowotnych ustalono w oparciu o odpowiednie zarządzenia Prezesa NFZ oraz Obwieszczenie MZ z dnia 24 czerwca 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2014 roku. W obliczeniach, zgodnie z §2. Rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r., wykorzystano aktualne dane odnośnie cen oraz poziomu i sposobu finansowania technologii wnioskowanej i opcjonalnej.

Szczegółowe oszacowania dla poszczególnych kategorii kosztowych przedstawiono w Analizie ekonomicznej, natomiast poniżej przedstawiono zestawienie przyjętych w analizie wartości kosztów.

W tabeli poniżej przedstawiono koszt immunoglobulin IVIG podawanych w ramach leczenia szpitalnego oraz w ramach proponowanego programu lekowego (Tabela 16), natomiast pozostałe koszty związane z terapią u pacjentów z zespołem Guillain-Barre (koszty hospitalizacji, które zawierają koszty diagnostyki i kwalifikacji do leczenia, a także koszty podania i monitorowania leczenia) przedstawiono w Tabeli 17.

Tabela 16. Koszt immunoglobulin uwzględniony w analizie

Forma podania	Preparaty	Koszt jednostkowy [pkt/g]	Wartość punktu rozliczeniowego [zł]	Koszt IG [zł/g]	Opis
Finansowanie w ramach leczenia szpitalnego					
IVIG	x	6	52,00	312,00	Leczenie przetoczeniami immunoglobulin (5.53.01.0001401) (rozdział 7.2. Analizy ekonomicznej)
Finansowanie w ramach programu lekowego					
IVIG	Octagam Octagam 10%	x	x	170,10	Aktualne limity finansowania w grupach limitowych 1066.0 oraz 1066.1 (rozdział 7.2. Analizy ekonomicznej)

Tabela 17. Wartości kosztów hospitalizacji przyjętych w analizie

Kategoria kosztowa	Koszt jednostkowy [zł]	Opis
Koszt hospitalizacji	3 640,00	Koszt naliczany jednorazowo (rozdział 7.1 Analizy ekonomicznej) zarówno w przypadku leczenia w ramach programu lekowego, jak i w ramach leczenia szpitalnego

5.7. Zestawienie danych wejściowych dla poszczególnych scenariuszy analizy

W tabeli poniżej zestawiono wartości parametrów uwzględnione w poszczególnych scenariuszach analizy.

Tabela 18. Dane wejściowe dla poszczególnych scenariuszy analizy wpływu na budżet

Scenariusz	Wielkość populacji leczonej IG (2015 r. / 2016 r.)	Masa ciała [kg]	Udziały w rynku analizowanych preparatów [%]
Scenariusz 1	508 / 508	65,80	Octagam: 11,1% IVIG Octagam 10%: 7,7% IVIG
Scenariusz 2	285 / 285		
Scenariusz 3	952 / 951		
Scenariusz 4	508 / 508	52,64	
Scenariusz 5		78,96	
Scenariusz 6		65,80	

6. Wyniki analizy wpływu na budżet płatnika

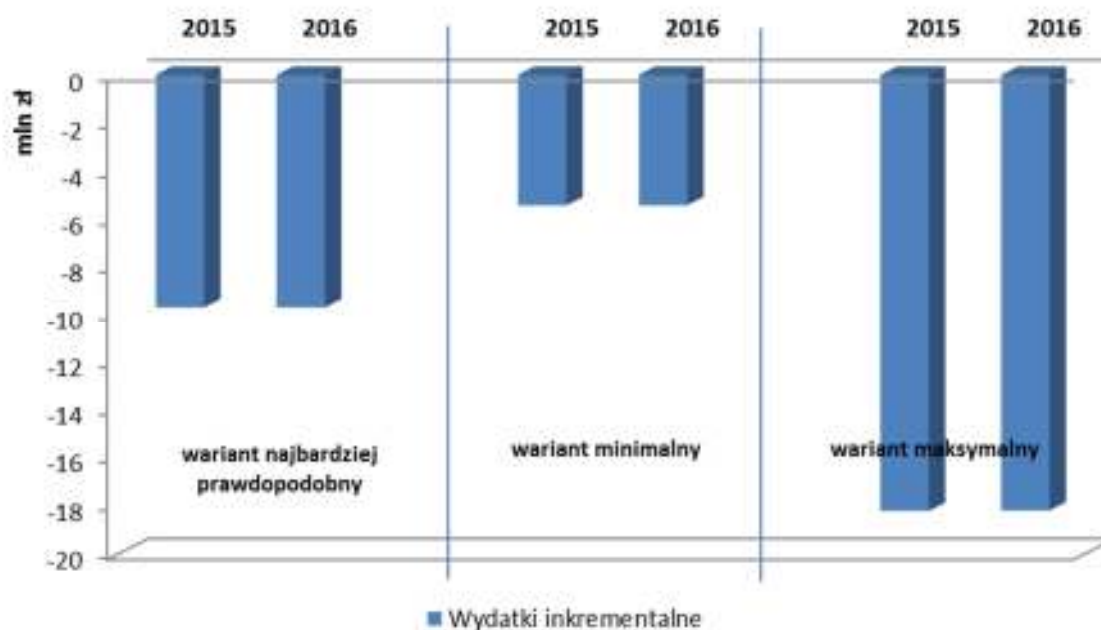
6.1. Wyniki dla poszczególnych wariantów analizy

Na podstawie zdefiniowanej populacji chorych kwalifikujących się do leczenia immunoglobulinami IVIG w ocenianym wskazaniu, wyznaczono roczne wydatki całkowite płatnika w dwuletnim horyzoncie czasowym w scenariuszu aktualnym oraz scenariuszu nowym. Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego poziomu wielkości populacji leczonej immunoglobulinami, a także założeń dotyczących średniej masy ciała chorych z GBS oraz udziałów w rynku analizowanych preparatów. Poniżej zaprezentowano wyniki dla poszczególnych wariantów analizy (najbardziej prawdopodobny, minimalny oraz maksymalny) z perspektywy płatnika publicznego (Rysunek 1). Wyniki analizy z perspektywy płatnika za świadczenia zdrowotne (płatnik publiczny oraz świadczeniobiorca) są takie same jak wyniki analizy z perspektywy płatnika publicznego.

Ze względu na to, iż, tak jak wykazano w Analizie ekonomicznej, IVIG finansowane w ramach programu lekowego są opcją opłacalną kosztowo względem IVIG finansowanych w ramach leczenia szpitalnego bez względu na przyjęte wartości parametrów wejściowych, wydatki płatnika publicznego w żadnym ze scenariuszy nowych nie będą wyższe od wydatków płatnika publicznego w scenariuszach aktualnych.

W zależności od wariantu analizy po podjęciu decyzji o finansowaniu immunoglobulin ludzkich w ramach proponowanego programu lekowego, w tym ocenianych produktów leczniczych, ze środków publicznych wydatki płatnika publicznego zmniejszą się najprawdopodobniej w każdym roku (zarówno w 2015 r., jak i w 2016 r.) o 9,7 mln zł (od 5,5 mln zł do 18,2 mln zł).

Rysunek 1. Wydatki inkrementalne płatnika publicznego po podjęciu decyzji o wprowadzeniu nowego programu lekowego dla pacjentów z GBS



6.1.1. Wariant najbardziej prawdopodobny

Wariantem najbardziej prawdopodobnym jest w niniejszej analizie scenariusz 1, zakładający średnią lub podstawową wartość wszystkich parametrów uwzględnionych w analizie wrażliwości. Poniżej przedstawiono podsumowanie wyników tego wariantu, natomiast szczegółowe wyniki znajdują się w rozdziale 0.

W wariantcie najbardziej prawdopodobnym analizy po podjęciu decyzji o finansowaniu immunoglobulin ludzkich w ramach proponowanego programu lekowego, w tym ocenianych produktów leczniczych, ze środków publicznych wydatki płatnika publicznego zmniejszą się najprawdopodobniej o 9,7 mln zł w 2015 roku oraz o 9,7 mln zł w 2016 roku.

Tabela 19. Wyniki dla wariantu najbardziej prawdopodobnego

Scenariusz	Kategorie kosztowe	2015 r.	2016 r.
Populacja pacjentów z GBS, w której będą stosowane IVIG		508	508
- w tym leczonych Octagam		56	56
- w tym leczonych Octagam 10%		39	39
Wydatki w scenariuszu aktualnym	Wydatki całkowite [zł]	23 246 080,00	23 246 080,00
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	2 369 522,02	2 369 522,02
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	1 644 987,92	1 644 987,92
Wydatki w scenariuszu nowym	Wydatki całkowite [zł]	13 514 578,00	13 514 578,00
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	1 291 845,18	1 291 845,18
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	896 834,76	896 834,76

Scenariusz	Kategorie kosztowe	2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Wydatki całkowite [zł]	-9 731 502,00	-9 731 502,00
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	-1 077 676,84	-1 077 676,84
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	-748 153,16	-748 153,16

6.1.2. Wariant minimalny

Wariantem minimalnym, czyli wariantem analizy zakładającym najniższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym jest w niniejszej analizie scenariusz 2, zakładający najmniejszą szacowaną liczebność populacji leczonej immunoglobulinami. Poniżej przedstawiono podsumowanie wyników tego wariantu, natomiast szczegółowe wyniki znajdują się w rozdziale 0.

W wariantcie minimalnym analizy po podjęciu decyzji o finansowaniu immunoglobulin ludzkich w ramach proponowanego programu lekowego, w tym ocenianych produktów leczniczych ze środków publicznych wydatki płatnika publicznego zmniejszą się o 5,5 mln zł w 2015 roku oraz o 5,5 mln zł w 2016 roku.

Tabela 20. Wyniki dla wariantu minimalnego

Scenariusz	Kategorie kosztowe	2015 r.	2016 r.
Populacja pacjentów z GBS, w której będą stosowane IVIG		285	285
- w tym leczonych Octagam		32	32
- w tym leczonych Octagam 10%		22	22
Wydatki w scenariuszu aktualnym	Wydatki całkowite [zł]	13 041 600,00	13 041 600,00
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	1 329 357,83	1 329 357,83
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	922 877,08	922 877,08
Wydatki w scenariuszu nowym	Wydatki całkowite [zł]	7 581 997,50	7 581 997,50
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	724 755,66	724 755,66
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	503 145,49	503 145,49
Wydatki inkrementalne	Wydatki całkowite [zł]	-5 459 602,50	-5 459 602,50
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	-604 602,17	-604 602,17
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	-419 731,60	-419 731,60

6.1.3. Wariant maksymalny

Wariantem maksymalnym, czyli wariantem analizy zakładającym najwyższą różnicę w wydatkach płatnika publicznego pomiędzy scenariuszem aktualnym a nowym jest w niniejszej analizie scenariusz 3, zakładający największą szacowaną liczebność populacji leczonej immunoglobulinami. Poniżej przedstawiono podsumowanie wyników tego wariantu, natomiast szczegółowe wyniki znajdują się w rozdziale 0.

W wariantcie maksymalnym analizy po podjęciu decyzji o finansowaniu immunoglobulin ludzkich w ramach proponowanego programu lekowego, w tym ocenianych produktów leczniczych ze środków publicznych wydatki płatnika publicznego zmniejszą się o 18,2 mln zł w 2015 roku oraz o 18,2 mln zł w 2016 roku.

Tabela 21. Wyniki dla wariantu maksymalnego

Scenariusz	Kategorie kosztowe	2015 r.	2016 r.
Populacja pacjentów z GBS, w której będą stosowane IVIG		952	951
- w tym leczonych Octagam		105	105
- w tym leczonych Octagam 10%		73	73
Wydatki w scenariuszu aktualnym	Wydatki całkowite [zł]	43 563 520,00	43 517 760,00
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	4 440 521,58	4 435 857,17
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	3 082 733,27	3 079 495,11
Wydatki w scenariuszu nowym	Wydatki całkowite [zł]	25 326 532,00	25 299 928,50
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	2 420 938,21	2 418 395,21
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	1 680 682,47	1 678 917,04
Wydatki inkrementalne	Wydatki całkowite [zł]	-18 236 988,00	-18 217 831,50
	- w tym wydatki na produkt Octagam [zł]	-2 019 583,37	-2 017 461,96
	- w tym wydatki na produkt Octagam 10% [zł]	-1 402 050,81	-1 400 578,06

6.2. Wyniki dla poszczególnych scenariuszy z analizą wrażliwości

Tabela 22. Wyniki dla scenariusza 1

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-9 731 502,00	-9 731 502,00
	-Octagam	-1 077 676,84	-1 077 676,84
	-Octagam 10%	-748 153,16	-748 153,16
	WYDATKI całkowite	-9 731 502,00	-9 731 502,00
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	508	508
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	21 396 960,00	21 396 960,00
	-Octagam	2 369 522,02	2 369 522,02
	-Octagam 10%	1 644 987,92	1 644 987,92
	WYDATKI całkowite	23 246 080,00	23 246 080,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	508	508
	- w tym leczonych Octagam	56	56
	- w tym leczonych Octagam 10%	39	39
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	11 665 458,00	11 665 458,00
	-Octagam	1 291 845,18	1 291 845,18
	-Octagam 10%	896 834,76	896 834,76
	WYDATKI całkowite	13 514 578,00	13 514 578,00

Tabela 23. Wyniki dla scenariusza 2

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-5 459 602,50	-5 459 602,50
	-Octagam	-604 602,17	-604 602,17
	-Octagam 10%	-419 731,60	-419 731,60
	WYDATKI całkowite	-5 459 602,50	-5 459 602,50
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	285	285
	Koszt hospitalizacji	1 037 400,00	1 037 400,00
	Koszt immunoglobulin	12 004 200,00	12 004 200,00
	-Octagam	1 329 357,83	1 329 357,83
	-Octagam 10%	922 877,08	922 877,08
	WYDATKI całkowite	13 041 600,00	13 041 600,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	285	285
	- w tym leczonych Octagam	32	32
	- w tym leczonych Octagam 10%	22	22
	Koszt hospitalizacji	1 037 400,00	1 037 400,00
	Koszt immunoglobulin	6 544 597,50	6 544 597,50
	-Octagam	724 755,66	724 755,66
	-Octagam 10%	503 145,49	503 145,49
	WYDATKI całkowite	7 581 997,50	7 581 997,50

Tabela 24. Wyniki dla scenariusza 3

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-18 236 988,00	-18 217 831,50
	-Octagam	-2 019 583,37	-2 017 461,96
	-Octagam 10%	-1 402 050,81	-1 400 578,06
	WYDATKI całkowite	-18 236 988,00	-18 217 831,50
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	952	951
	Koszt hospitalizacji	3 465 280,00	3 461 640,00
	Koszt immunoglobulin	40 098 240,00	40 056 120,00
	-Octagam	4 440 521,58	4 435 857,17
	-Octagam 10%	3 082 733,27	3 079 495,11
	WYDATKI całkowite	43 563 520,00	43 517 760,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	952	951
	- w tym leczonych Octagam	105	105
	- w tym leczonych Octagam 10%	73	73
	Koszt hospitalizacji	3 465 280,00	3 461 640,00
	Koszt immunoglobulin	21 861 252,00	21 838 288,50
	-Octagam	2 420 938,21	2 418 395,21
	-Octagam 10%	1 680 682,47	1 678 917,04
	WYDATKI całkowite	25 326 532,00	25 299 928,50

Tabela 25. Wyniki dla scenariusza 4

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-7 929 372,00	-7 929 372,00
	-Octagam	-878 107,06	-878 107,06
	-Octagam 10%	-609 606,28	-609 606,28
	WYDATKI całkowite	-7 929 372,00	-7 929 372,00
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	508	508
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	17 434 560,00	17 434 560,00
	-Octagam	1 930 721,65	1 930 721,65
	-Octagam 10%	1 340 360,53	1 340 360,53
	WYDATKI całkowite	19 283 680,00	19 283 680,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	508	508
	- w tym leczonych Octagam	56	56
	- w tym leczonych Octagam 10%	39	39
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	9 505 188,00	9 505 188,00
	-Octagam	1 052 614,59	1 052 614,59
	-Octagam 10%	730 754,25	730 754,25
	WYDATKI całkowite	11 354 308,00	11 354 308,00

Tabela 26. Wyniki dla scenariusza 5

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-11 533 632,00	-11 533 632,00
	-Octagam	-1 277 246,63	-1 277 246,63
	-Octagam 10%	-886 700,04	-886 700,04
	WYDATKI całkowite	-11 533 632,00	-11 533 632,00
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	508	508
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	25 359 360,00	25 359 360,00
	-Octagam	2 808 322,39	2 808 322,39
	-Octagam 10%	1 949 615,32	1 949 615,32
	WYDATKI całkowite	27 208 480,00	27 208 480,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	508	508
	- w tym leczonych Octagam	56	56
	- w tym leczonych Octagam 10%	39	39
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	13 825 728,00	13 825 728,00
	-Octagam	1 531 075,77	1 531 075,77
	-Octagam 10%	1 062 915,27	1 062 915,27
	WYDATKI całkowite	15 674 848,00	15 674 848,00

Tabela 27. Wyniki dla scenariusza 6

	Kategorie kosztowe	Horyzont czasowy	
		2015 r.	2016 r.
Wydatki inkrementalne	Koszt hospitalizacji	0,00	0,00
	Koszt immunoglobulin	-9 731 502,00	-9 731 502,00
	-Octagam	-973 150,20	-973 150,20
	-Octagam 10%	-1 297 533,60	-1 297 533,60
	WYDATKI całkowite	-9 731 502,00	-9 731 502,00
Scenariusz aktualny	Liczba pacjentów	508	508
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	21 396 960,00	21 396 960,00
	-Octagam	2 139 696,00	2 139 696,00
	-Octagam 10%	2 852 928,00	2 852 928,00
	WYDATKI całkowite	23 246 080,00	23 246 080,00
Scenariusz nowy	Liczba pacjentów	508	508
	- w tym leczonych Octagam	51	51
	- w tym leczonych Octagam 10%	68	68
	Koszt hospitalizacji	1 849 120,00	1 849 120,00
	Koszt immunoglobulin	11 665 458,00	11 665 458,00
	-Octagam	1 166 545,80	1 166 545,80
	-Octagam 10%	1 555 394,40	1 555 394,40
	WYDATKI całkowite	13 514 578,00	13 514 578,00

7. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz inne sektory publiczne

Podjęcie decyzji o finansowaniu produktu Octagam® oraz Octagam 10%® w ocenianym wskazaniu (leczenie pacjentów z zespołem Guillain-Barre) ze środków publicznych w Polsce w ramach programu lekowego nie będzie powodowało konsekwencji dla wydatków publicznych w sektorach innych niż ochrona zdrowia. Technologia ta jest już obecnie finansowana ze środków publicznych w ramach leczenia szpitalnego. W przypadku obu form finansowania terapii leczenie jest podawane w warunkach szpitalnych pod bezpośrednim nadzorem personelu medycznego.

Decyzja dotycząca wprowadzenia finansowania ze środków publicznych w ramach programu lekowego immunoglobulin do podania dożylnego nie wpłynie istotnie na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych, z wyjątkiem różnic w sposobie rozliczania przez świadczeniodawców zrealizowanych świadczeń z Narodowym Funduszem Zdrowia.

Świadczenia z zastosowaniem IVIG w ramach programu lekowego będą udzielane przez specjalistyczne ośrodki mające już doświadczenie w stosowaniu terapii immunoglobulinami w ramach leczenia szpitalnego, dlatego podjęcie decyzji o finansowaniu ze środków publicznych IVIG w ramach programu lekowego nie będzie skutkowało koniecznością dodatkowego przeszkolenia personelu, opracowania nowych wytycznych klinicznych ani zmiany zasad diagnostyki i związanych z tym kosztów.

Wprowadzenie nowego programu lekowego nie będzie wiązało się również ze zmianą wymogów dotyczących wyposażenia placówek medycznych (sprzętowe, osobowe i inne) ani nie wymaga zapewnienia żadnych dodatkowych środków ostrożności niż te obecnie stosowane w przypadku terapii immunoglobulinami w ramach świadczenia leczenia przetoczeniami immunoglobulin w warunkach szpitalnych.

Z perspektywy pacjenta zmiana sposobu finansowania ze środków publicznych immunoglobulin w leczeniu GBS nie wiąże się również z żadnymi zmianami (pacjent w sytuacji wystąpienia objawów choroby jest hospitalizowany i realizowane świadczenia zdrowotne nie będą zależeć od tego, w jaki sposób są rozliczane przez płatnika publicznego).

8. Aspekty etyczne i społeczne

W tabeli poniżej zestawiono aspekty etyczne i społeczne związane z pozytywną decyzją o finansowaniu produktów Octagam® oraz Octagam 10%® w analizowanym wskazaniu ze środków publicznych w ramach programu lekowego.

Realizacja programu lekowego dla pacjentów z GBS obniży wydatki płatnika publicznego związane z finansowaniem świadczeń zdrowotnych. Pieniądze te będą mogły być przeznaczone na sfinansowanie innych świadczeń zdrowotnych finansowanych przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

Podsumowując wpływ na aspekty społeczne i etyczne, a także organizacyjne i prawne, nie zidentyfikowano żadnych potencjalnych problemów związanych z finansowaniem ze środków publicznych w ramach programu lekowego rozważanej technologii medycznej w ocenianym wskazaniu.

Tabela 28. Podsumowanie aspektów etycznych i społecznych

Ocena pozytywnej decyzji o finansowaniu produktów Octagam® oraz Octagam 10%® ze środków publicznych w ramach programu lekowego w świetle aspektów etycznych	
czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie?	Nie. Zakłada się wyłącznie zmianę sposobu finansowania terapii immunoglobulinami przez NFZ
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?	Nie dotyczy. Zakłada się wyłącznie zmianę sposobu finansowania terapii immunoglobulinami przez NFZ
czy technologia stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych?	Nie
czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia?	Nie, terapia jest obecnie finansowana ze środków publicznych w ocenianym wskazaniu w ramach leczenia szpitalnego.
Ocena pozytywnej decyzji o finansowaniu produktów Octagam® oraz Octagam 10%® ze środków publicznych w ramach programu lekowego w świetle aspektów społecznych	
wpływ na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
groźba niezaakceptowania postępowania przez poszczególnych chorych	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
powoduje lub zmienia stygmatyzację	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
wywołuje lęk	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
powoduje dylematy moralne	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ

stwarza problemy dotyczące płci lub rodzinne	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi	Nie, z wyjątkiem konieczności utworzenia nowego programu lekowego i aktualizacji Wykazu Leków Refundowanych
stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach	Nie, z wyjątkiem konieczności utworzenia nowego programu lekowego i aktualizacji Wykazu Leków Refundowanych
oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
nakłada konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ
potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania	Nie, wyłącznie zmiana sposobu finansowania świadczeń przez NFZ

9. Analiza racjonalizacyjna

Zgodnie z art. 25 pkt 14 lit. c Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122, poz. 696 z późn. zmianami) do wniosku, o którym mowa w art. 24 ust. 1 pkt.1 tej Ustawy (wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego) dla leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu należy dołączyć uzasadnienie wniosku zawierające m.in. analizę racjonalizacyjną. [7]

Analiza racjonalizacyjna przedkładana jest w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji. Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których objęcie refundacją spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet (art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte Ustawy). [7]

Ze względu na to, iż analiza wpływu na budżet płatnika nie wykazała wzrostu kosztów refundacji z perspektywy płatnika publicznego (NFZ) (rozdział 6), nie zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 25 pkt 14 lit. c tiret czwarte Ustawy.

10. Wnioski końcowe

Prognozowana wielkość populacji leczonej immunoglobulinami w ramach programu lekowego

Prognozowana wielkość populacji chorych, którzy w danym roku będą leczeni immunoglobulinami ludzkimi w terapii GBS w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji ocenianych produktów leczniczych w tym wskazaniu w ramach programu lekowego wynosić będzie w wariantcie najbardziej prawdopodobnym 508 pacjentów w 2015 r. i w 2016 roku. Dla wariantu minimalnego populacja ta będzie wynosić odpowiednio 285 pacjentów w obydwu analizowanych latach, natomiast dla wariantu maksymalnego odpowiednio 952 oraz 951 pacjentów.

Wyniki analizy wpływu na budżet

Realizacja scenariusza „nowego” w porównaniu do sytuacji obecnej spowoduje zmniejszenie wydatków (biorąc pod uwagę kategorie kosztowe we wszystkich uwzględnianych zakresach świadczeń) z perspektywy płatnika publicznego w wariantcie najbardziej prawdopodobnym (minimalnym; maksymalnym) o 9,7 mln zł (5,5 mln zł; 18,2 mln zł) zarówno w 2015 roku, jak również w 2016 roku.

Wnioski końcowe

Pozytywna decyzja dotycząca rozpoczęcia finansowania ze środków publicznych immunoglobulin ludzkich w ramach programu lekowego w leczeniu chorych z zespołem Guillain-Barre prowadzi do znacznych oszczędności nakładów finansowych na leczenie tych pacjentów w stosunku do nierozpoczęcia finansowania tych leków w ocenianym wskazaniu w ramach programu lekowego. Należy podkreślić fakt, że immunoglobuliny ludzkie w analizowanym wskazaniu mogą być stosowane przez wąską grupę chorych (najprawdopodobniej około 500 chorych rocznie).

11. Bibliografia

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych. Wytyczne oceny technologii medycznych (HTA) - Wersja 2.1; Warszawa, kwiecień 2009; <http://www.aotm.gov.pl/index.php?id=13>
2. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 24 czerwca 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 lipca 2014 r. - <http://www.mz.gov.pl/leki/refundacja/lista-lekow-refundowanych-obwieszczenia-ministra-zdrowia>
3. Pracownia HTA. Analiza ekonomiczna. Immunoglobulina ludzka normalna do podania dożylnego (Octagam® / Octagam 10%®) w leczeniu pacjentów z zespołem Guillain-Barre; wersja 1.00, Kraków, lipiec 2014 r.
4. Pracownia HTA. Analiza kliniczna. Immunoglobulina ludzka normalna do podania dożylnego (Octagam® / Octagam 10%®) w leczeniu pacjentów z zespołem Guillain-Barre – przegląd systematyczny; wersja 1.00, Kraków, lipiec 2014 r.
5. Pracownia HTA. Analiza problemu decyzyjnego. Immunoglobulina ludzka normalna do podania dożylnego (Octagam® / Octagam 10%®) w leczeniu pacjentów z zespołem Guillain-Barre; wersja 1.00, Kraków, lipiec 2014 r.
6. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. 2012 nr 0 poz. 388); <http://isap.sejm.gov.pl/DetailsServlet?id=WDU20120000388>
7. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122, poz. 696 z późn. zm.)
8. Bernatowska E, Pac M, Polska Grupa Robocza ds. Pierwotnych Niedoborów Odporności - działania na rzecz wzrostu wykrywalności pierwotnych niedoborów odporności oraz dostępności leczenia substytucyjnego preparatami gammaglobulin dla pacjentów z niedoborami przeciwciał - raport z września 2013 roku. *Standardy Medyczne/Pediatrics* 2014 / tom 11: 197-204.
9. McGrogan A, Madle G.C, Seaman H.E, De Vries C.S. The epidemiology of Guillain-Barré syndrome worldwide: A systematic literature review. *Neuroepidemiology* (2009) 32:2 (150-163).
10. Sejvar JJ, Baughman AL, Wise M, Morgan OW. Population incidence of Guillain-Barré syndrome: a systematic review and meta-analysis. *Neuroepidemiology*. 2011;36(2):123-33.
11. Poltransplant. Biuletyn informacyjny. Nr 1 (21) Marzec 2013 - http://www.poltransplant.org.pl/biuletyn_2013.html
12. Frangoul H, Min E, Wang W, Chandrasekhar R, Calder C, Evans M, Manes B, Bruce K, Brown V, Ho R, Domm J. Incidence and risk factors for hypogammaglobulinemia in pediatric patients following allo-SCT. *Bone Marrow Transplant*. 2013 Nov;48(11):1456-9.
13. PZH - http://www.pzh.gov.pl/oldpage/epimeld/hiv_aids/
14. Zawilska K. Samoistna plamica małopłytkowa – skala problemu; *Acta Haematologica Polonica* 2009, 40, Nr 4, str. 843–849

15. Raport AOTM- OT- 431-5/2014 -
http://www.aotm.gov.pl/bip/assets/files/zlecenia_mz/2014/008/RPT/008_AOTM_OT_431_5_14_%5Bdazatynib%5D_CLL.pdf
16. Deptała A. Przewlekła białaczka limfatyczna. Czas na zmianę standardów postępowania -
http://tip.wum.edu.pl/files/tip/Przewlekla_bialaczka_limfatyczna.pdf
17. Gafter-Gvili A, Fraser A, Paul M, Vidal L, Lawrie TA, van de Wetering MD, Kremer LC, Leibovici L. Antibiotic prophylaxis for bacterial infections in afebrile neutropenic patients following chemotherapy. *Cochrane Database Syst Rev.* 2012 Jan 18;1:CD004386
18. Raport AOTM-OT-0159 -
http://www.aotm.gov.pl/www/assets/files/rada/rekomendacje_stanowiska/2010/R46-2010-bortezomib%20%28Velcade%29/OT0159_Velcade_szcipczak_mnogi.pdf
19. Cheuk DK, Chiang AK, Lee TL, Chan GC, Ha SY. Vaccines for prophylaxis of viral infections in patients with hematological malignancies. *Cochrane Database Syst Rev.* 2011 Mar 16;(3):CD006505.
20. Jasiński M, Gołębiowska-Gągała B, Wieleba M. Objawy ze strony ośrodkowego układu nerwowego u dziecka z chorobą Kawasaki – opis przypadku. *Neurologia Dziecięca* Nr 31 Vol. 16/2007 (55-60).
21. GUS – Stan zdrowia ludności Polski w 2009 r. -
http://stat.gov.pl/download/cps/rde/xbcr/gus/ZO_stan_zdrowia_2009.pdf
22. GUS - Zdrowie dzieci i młodzieży w Polsce w 2009 r. -
http://stat.gov.pl/download/cps/rde/xbcr/gus/zo_zdrowie_dzieci_mlodziemy_w_polsce_2009.zip
23. GUS – Stan i struktura ludności na rok 2013 -
<http://demografia.stat.gov.pl/bazademografia/Tables.aspx>
24. NFZ - informacje o wielkości kwoty refundacji i liczbie zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN -
<http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=6198>

12. Spis tabel

Tabela 1. Roczna liczebność populacji, w której IVIG mogą być zastosowane	11
Tabela 2. Roczna liczebność populacji, w której IVIG są obecnie stosowane	12
Tabela 3. Roczna liczebność populacji docelowej	13
Tabela 4. Scenariusze analizy wpływu na budżet płatnika	16
Tabela 5. Roczna liczebność populacji, w której IVIG będą stosowane przy założeniu, że MZ wyda decyzję o objęciu refundacją w ramach programu lekowego u pacjentów z GBS	18
Tabela 6. Wskaźnik zapadalności na GBS / 100 tys. (Sejvar 2011) [10]	19
Tabela 7. Kalkulacja populacji docelowej w Polsce w 2013 r.	20
Tabela 8. Szacowana liczebność populacji docelowej w latach 2015-2016 przyjęta w analizie	20
Tabela 9. Sposób finansowania leczenia GBS w Polsce przyjęty w analizie	20
Tabela 10. Udziały ocenianych preparatów w sprzedaży immunoglobulin do podania dożylnego przyjęte w analizie	21
Tabela 11. Średnia masa ciała w populacji Polski	22
Tabela 12. Wartość średniej masy ciała przyjęta w analizie	22
Tabela 13. Schemat leczenia immunoglobulinami przyjęty w analizie	23
Tabela 14. Cena i proponowane warunki objęcia refundacją ocenianych produktów leczniczych w ramach programu lekowego „Leczenie przetoczeniami immunoglobulin w chorobach neurologicznych”	23
Tabela 15. Szacowane aktualne roczne wydatki płatnika publicznego ponoszone na leczenie pacjentów w ocenianym stanie klinicznym	25
Tabela 16. Koszt immunoglobulin uwzględniony w analizie	26
Tabela 17. Wartości kosztów hospitalizacji przyjętych w analizie	26
Tabela 18. Dane wejściowe dla poszczególnych scenariuszy analizy wpływu na budżet	26
Tabela 19. Wyniki dla wariantu najbardziej prawdopodobnego	28
Tabela 20. Wyniki dla wariantu minimalnego	29
Tabela 21. Wyniki dla wariantu maksymalnego	30
Tabela 22. Wyniki dla scenariusza 1	31
Tabela 23. Wyniki dla scenariusza 2	31
Tabela 24. Wyniki dla scenariusza 3	32
Tabela 25. Wyniki dla scenariusza 4	32
Tabela 26. Wyniki dla scenariusza 5	33
Tabela 27. Wyniki dla scenariusza 6	33
Tabela 28. Podsumowanie aspektów etycznych i społecznych	35

13. Spis rysunków

Rysunek 1. Wydatki inkrementalne płatnika publicznego po podjęciu decyzji o wprowadzeniu nowego programu lekowego dla pacjentów z GBS	28
--	----



PRACOWNIA HTA

UL. RUSZNIKARSKA 12/42, 31-261 KRAKÓW
T: +48 12 444 10 92 / F: +48 12 444 10 93
WWW.PRACOWNIAHTA.PL

NIP: 945-214-67-35, REGON: 1212 92 227
NUMER KONTA: PL44 1140 2004 0000 3002 7043 7220

