

**Etanercept (Enbrel®)  
w terapii spondyloartropatii  
osiowej bez zmian radiologicznych**

**Analiza wpływu na system ochrony zdrowia**



Warszawa  
grudzień 2014

**Autorzy raportu:**

- [REDACTED] – HealthQuest Sp. z o.o. Sp. k.
- [REDACTED] – HealthQuest Sp. z o.o. Sp. k.
- [REDACTED] – HealthQuest Sp. z o.o. Sp. k.

**Adres do korespondencji:**

[REDACTED]

HealthQuest Spółka z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. k.

ul. Mickiewicza 63, 01-625 Warszawa

tel./fax +48 22 468 05 34, kontakt@healthquest.pl

**Konflikt interesów:**

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

**Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:**

Pfizer Polska Sp. z o.o.

ul. Postępu 17B

02-676 Warszawa

tel. +48 (22) 335 61 00

fax +48 (22) 335 61 11

**Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:**

[REDACTED]

Pfizer Polska Sp. z o.o.

ul. Postępu 17B,

02-676 Warszawa

tel. +48 (22) 335 61 00

fax +48 (22) 335 61 11

**Cytowanie:** [REDACTED] Etanercept (Enbrel®) w terapii spondyloartropatii osiowej bez zmian radiologicznych. Analiza wpływu na system ochrony zdrowia. Warszawa, grudzień 2014.

## Streszczenie

### Cel

Celem analizy jest ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym budżet Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ), finansowania ze środków publicznych etanerceptu (Enbrel®, Pfizer Limited) w leczeniu dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

### Strategia analityczna

Analizę przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta.

Wyniki przedstawiono w postaci całkowitych wydatków związanych ze stosowaniem leczenia objawowego (scenariusz istniejący) oraz spodziewanych wydatków związanych z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA (scenariusz nowy).

Analizę przeprowadzono z uwzględnieniem kosztów nabycia i podania substancji czynnych, kosztów kwalifikacji do leczenia oraz kosztów monitorowania chorego.

Przyjęto upraszczające założenie o pełnym przestrzeganiu zaleceń lekarskich i braku możliwości zmiany lub przerwania terapii w analizowanym horyzoncie czasowym.

### Struktura i parametry analizy

W oparciu o dane epidemiologiczne założono, że liczba chorych z nr-axSpA kwalifikujących się do leczenia etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego będzie odpowiadała liczbie chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi. Liczebność docelowej populacji chorych wyznaczono na podstawie danych zawartych w protokołach z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych z założeniem wzrostowego trendu liniowego (najlepsze dopasowanie). Ze względu na brak innych, bardziej wiarygodnych danych, odnoszących się do warunków polskich, przyjęcie powyższego założenia jest uzasadnione. Mając na uwadze podobną chorobowość ZZSK i nr-axSpA oraz zbliżone kryteria włączenia do programów lekowych, przyjęte założenie daje możliwość przybliżenia liczebności populacji docelowej i tym samym liczby aktywnych terapii w danym horyzoncie czasowym. [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W programie lekowym dla ZZSK nie zdefiniowano tak precyzyjnie kryteriów włączenia do programu, stąd przyjęto, że będą one stanowiły dodatkowy warunek ograniczający liczebności chorych w programie dla nr-axSpA.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono wyłącznie stosowanie leczenia objawowego. W scenariuszu nowym przyjęto, że chorzy będą stosowali etanercept w ramach dedykowanego programu lekowego oraz leczenie objawowe. W analizie nie uwzględniono adalimumabu i certolizumabu pegol ze względu na brak finansowania tych substancji czynnych w leczeniu nr-axSpA oraz wysoki koszt zakupu leków dla chorego.

Ceny leków nierefundowanych przyjęto zgodnie z Indekssem Leków Medycyny Praktycznej.

Parametry kosztowe oszacowano specyficznie dla polskiego systemu ochrony zdrowia w oparciu o badanie ankietowe przeprowadzone w listopadzie 2014 r. wśród 3 polskich ekspertów w dziedzinie reumatologii.

Niepewne parametry dotyczące docelowej liczby chorych w kolejnych latach analizy testowano w ramach scenariusza minimalnego i maksymalnego. Pozostałe parametry, takie jak [REDACTED] i koszty leczenia objawowego testowano w ramach deterministycznej analizy wrażliwości.

## Wyniki

Poniżej przedstawiono podsumowanie wyników analizy z perspektywy NFZ [REDACTED]

W analizie podstawowej liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED] pacjentów (tj. rocznych terapii) odpowiednio w I i II roku analizy.

- Prognozowane obciążenia budżetowe w scenariuszu istniejącym (leczenie objawowe) oszacowano na [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.

- Prognozowane obciążenia budżetowe w scenariuszu nowym (etanercept i leczenie objawowe) oszacowano na [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.
  - Koszt zakupu etanerceptu wyniesie [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy [REDACTED]
- Prognozowane dodatkowe wydatki związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.

### **Wnioski**

Finansowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA jest związane z dodatkowymi obciążeniami dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia.

Dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta są nieznacznie niższe w porównaniu do perspektywy NFZ. Wynika to z uwzględnienia wydatków pacjenta na leczenie objawowe przy jednoczesnym braku dodatkowych wydatków dla pacjenta na terapię etanerceptem.

Należy podkreślić, że oszacowana liczebność populacji docelowej w II roku odpowiada populacji ustabilizowanej, podczas gdy osiągnięcie stabilizacji może zająć więcej niż dwa lata. Stąd, oszacowane obciążenia budżetowe szczególnie w 2017 r. należy traktować, jako wariant bardzo konserwatywny i bezpieczny z perspektywy płatnika publicznego.

Dodatkowe wydatki wiążą się z zapewnieniem dostępu do nowoczesnej terapii o udowodnionej skuteczności, rekomendowanej przez autorów wytycznych klinicznych i agencje oceny technologii medycznych. Dostęp do terapii etanerceptem spowoduje opóźnienie progresji nr-axSpA do ZZSK.

Dostęp do terapii etanerceptem będzie stanowić istotną i oczekiwaną przez chorych alternatywę dla aktualnie dostępnego leczenia objawowego.

## **Słowa kluczowe**

etanercept, spondyloartropatia osiowa bez zmian radiologicznych, analiza wpływu na system ochrony zdrowia

## Skróty i akronimy

AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych w Polsce
BC	analiza podstawowa (ang. <i>base case</i> )
ChPL	Charakterystyka Produktu Leczniczego
CON	leczenie objawowe (ang. <i>conventional therapy</i> )
CRP	białko C-reaktywne (ang. <i>C-reactive protein</i> )
DDD	zdefiniowana dawka dobową (ang. <i>defined daily dose</i> )
ETN	etanercept
HTA	Ocena Technologii Medycznych (ang. <i>Health Technology Assessment</i> )
ŁZS	łuszczykowe zapalenie stawów
MIZS	młodzieńcze idiopatyczne zapalenie stawów
MRI	rezonans magnetyczny (ang. <i>magnetic resonance imaging</i> )
MZ	Minister Zdrowia
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
NLPZ	niesteroidowe leki przeciwzapalne
nr-axSpA	spondyloartropatia osiowa bez zmian radiologicznych
PICO	populacja, interwencja, komparator, efekt zdrowotny (ang. <i>population, intervention, comparison, outcome</i> )
■	■
RZS	reumatoidalne zapalenie stawów
SA	analiza wrażliwości (ang. <i>sensitivity analysis</i> )
WHO	Światowa Organizacja Zdrowia (ang. <i>World Health Organization</i> )
ZZSK	zesztywniające zapalenie stawów kręgosłupa

## Spis treści

Streszczenie .....	5
Słowa kluczowe .....	8
Skróty i akronimy .....	9
Spis treści .....	10
<b>1 Cel analizy .....</b>	<b>12</b>
<b>2 Uzasadnienie grupy limitowej i ceny.....</b>	<b>13</b>
<b>3 Analiza wpływu na budżet .....</b>	<b>15</b>
3.1 Populacja .....	15
3.1.1 Populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	15
3.1.2 Populacja docelowa, wskazana we wniosku .....	21
3.1.3 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana .....	26
3.1.4 Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji.....	27
3.1.5 Podsumowanie oszacowań populacji .....	28
3.2 Perspektywa .....	28
3.3 Horyzont czasowy analizy .....	28
3.4 Scenariusze.....	29
3.4.1 Scenariusz istniejący.....	29
3.4.2 Scenariusz nowy.....	30
3.5 Parametry .....	32
3.5.1 Długość terapii.....	32
3.5.2 Dawkowanie leków .....	33
3.5.3 Dane kosztowe .....	33
3.5.3.1 Koszt zakupu leków .....	34
3.5.3.2 Koszt podania leków.....	39
3.5.3.3 Koszt kwalifikacji do leczenia .....	39
3.5.3.4 Koszt standardowego monitorowania chorego .....	40
3.5.4 Dyskontowanie .....	41



---

3.5.5 Współczynnik <i>compliance</i> .....	42
3.5.6 Analiza wrażliwości .....	42
3.5.7 Podsumowanie założeń i parametrów .....	44
3.6 Oszacowania aktualnych rocznych wydatków NFZ .....	46
3.7 Wyniki ██████████ .....	47
3.7.1 Analiza podstawowa.....	47
3.7.1.1 Analiza scenariusza minimalnego i maksymalnego .....	50
3.7.1.2 Analiza wrażliwości.....	54
3.8 Wyniki ██████████ .....	56
3.8.1 Analiza podstawowa.....	56
3.8.1.1 Analiza scenariusza minimalnego i maksymalnego .....	58
3.8.1.2 Analiza wrażliwości.....	62
<b>4 Analiza racjonalizacyjna .....</b>	<b>65</b>
<b>5 Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.....</b>	<b>66</b>
<b>6 Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>67</b>
<b>7 Dyskusja i ograniczenia.....</b>	<b>68</b>
<b>8 Podsumowanie i wnioski.....</b>	<b>72</b>
<b>9 Aneks.....</b>	<b>74</b>
9.1 Aspekty etyczne.....	74
9.2 Zgodność z minimalnymi wymaganiami MZ.....	76
<b>Spis tabel.....</b>	<b>78</b>
<b>Spis rycin .....</b>	<b>80</b>
<b>Piśmiennictwo .....</b>	<b>82</b>

## 1 Cel analizy

Celem analizy jest ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym budżet Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ), finansowania ze środków publicznych etanerceptu (Enbrel®, Pfizer Limited) w leczeniu dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia,

W poniższej tabeli przedstawiono kontekst analizy wpływu na system ochrony zdrowia wg schematu PICO (ang. *population, intervention, comparison, outcome*).

**Tab. 1. Kontekst analizy wpływu na system ochrony zdrowia wg schematu PICO.**

Kryterium	Charakterystyka
populacja (P)	dorośli chorzy z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia,
interwencja (I)	etanercept (Enbrel®, Pfizer Limited)
komparator (C)	leczenie objawowe
perspektywa	podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz wspólna NFZ i pacjenta
horyzont czasowy	2 lata
scenariusz istniejący	brak finansowania etanerceptu ze środków publicznych w leczeniu nr-axSpA, tj. stosowanie leczenia objawowego
scenariusz nowy	finansowanie etanerceptu ze środków publicznych w leczeniu nr-axSpA, tj. stosowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego i leczenia objawowego
wyniki (O)	<p>• dodatkowe bezpośrednie koszty medyczne związane z refundacją etanerceptu</p> <p>• wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych</p> <p>• aspekty etyczne i społeczne</p>

## 2 Uzasadnienie grupy limitowej i ceny

Leczenie nr-axSpA etanerceptem nie jest refundowane obecnie w Polsce – brak jest dedykowanego programu lekowego.<sup>1</sup>

Finansowanie etanerceptu realizowane jest m.in. w ramach programu lekowego „Leczenie inhibitorami TNF- $\alpha$  świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa”.<sup>1</sup> Należy jednak podkreślić, że ZZSK stanowi inną od nr-axSpA postać spondyloartropatii osiowej o podobnym obrazie klinicznym oraz obciążeniu ekonomicznym i społecznym, przy czym formalnie, dla celów specyficznego finansowania obu chorób w ramach dedykowanych programów lekowych, należy je rozpatrywać osobno.

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

W poniższej tabeli zestawiono dane przedstawione w Obwieszczeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 października 2014 r. dotyczące aktualnych poziomów finansowania etanerceptu w Polsce w ramach programów lekowych prowadzonych w populacji dorosłych chorych.<sup>1</sup>

**Tab. 2. Ceny etanerceptu zgodnie z Obwieszczeniem MZ na listopad-grudzień 2014 r.<sup>1</sup>**

Nazwa leku	Postać i dawka leku	Zawartość opakowania	Cena zbytu netto, PLN	Urzędowa cena zbytu, PLN	Cena hurtowa brutto, PLN	Wysokość limitu finansowania, PLN	Wysokość dopłaty świadczeniobiorcy, PLN
<b>Etanercept (ETN)*</b>							
Enbrel®	roztwór do wstrzykiwań w ampułko-strzykawce, 50 mg	4 amp.-strz. (+8 gazik.z alkoh.)	3700,00	3996,00	4195,80	4195,80	0,00
Enbrel®	roztwór do wstrzykiwań we wstrzykiwaczu, 50 mg	4 wstrz. (+8 gazik.z alkoh.)	3700,00	3996,00	4195,80	4195,80	0,00
Enbrel®	proszek i rozpuszczalnik do sporządzenia roztworu do wstrzykiwań, 25 mg/ml	4 fiol. + 4 amp.-strz.+ 4 igły + 4 nasadki na fiol. + 8 gazików	1850,00	1998,00	2097,90	2097,90	0,00

\* pominięto produkt Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań do stosowania u dzieci, 10 mg/ml.

## 3 Analiza wpływu na budżet

### 3.1 Populacja

Zgodnie z § 6 ust. 1 pkt 1 i 2 rozporządzenia Ministra Zdrowia (MZ) z dnia 2 kwietnia 2012 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu,<sup>2</sup> analiza wpływu na budżet powinna zawierać oszacowanie rocznej liczebności populacji:

- obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana (rozdz. 3.1.1);
- docelowej, wskazanej we wniosku (rozdz. 3.1.2);
- w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana (rozdz. 3.1.3);
- w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji (rozdz. 3.1.4).

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

Populację obejmującą wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana zgodnie z ChPL stanowią pacjenci z:

- reumatoidalnym zapaleniem stawów (RZS),
- młodzieńczym idiopatycznym zapaleniem stawów (MIZS),
- łuszczycowym zapaleniem stawów (ŁZS),
- zeszywniającym zapaleniem stawów kręgosłupa (ZZSK),
- osiową spondyloartropatią bez zmian radiologicznych (nr-axSpA),
- łuszczycą zwykłą (plackowatą),
- łuszczycą zwykłą (plackowatą) u dzieci i młodzieży.<sup>3</sup>

Terapia wyżej wymienionych wskazań za pomocą leków biologicznych finansowana jest w ramach następujących programów lekowych:

- B.33.: Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08);
- B.35.: Leczenie łuszczycowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3);
- B.36.: Leczenie inhibitorami TNF alfa świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (ZZSK) (ICD-10 M 45);

- B.45. Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10: M 05, M 06);
- B.47. Leczenie ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L 40.0).<sup>1</sup>

Przyjęto założenie, że liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana jest tożsama z liczebnością pacjentów aktywnie leczonych lekami biologicznymi (zakwalifikowane, w toku, nawrót) w ramach wymienionych powyżej programów lekowych. Przyjęte założenie wynika z faktu, że kryteria włączenia do programów są zbliżone do zarejestrowanych wskazań.

W oszacowaniach populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana uwzględniono protokoły z posiedzeń:

- Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych nr 36-70, tj. od stycznia 2012 r. (pierwszy protokół uwzględniający 4 programy lekowe: RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS) do listopada 2014 r. (ostatni dostępny protokół);<sup>4</sup>
- Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej nr 3-14, tj. od czerwca 2013 r. (pierwszy protokół zawierający dane na temat liczby aktywnie leczonych chorych) do czerwca 2014 r. (ostatni dostępny protokół; w protokole 9 dla grudnia 2013 r. oraz protokołach 11, 12, 13 nie raportowano liczby chorych aktywnie leczonych, w związku z czym obliczono średnią dla tych miesięcy).<sup>5</sup>

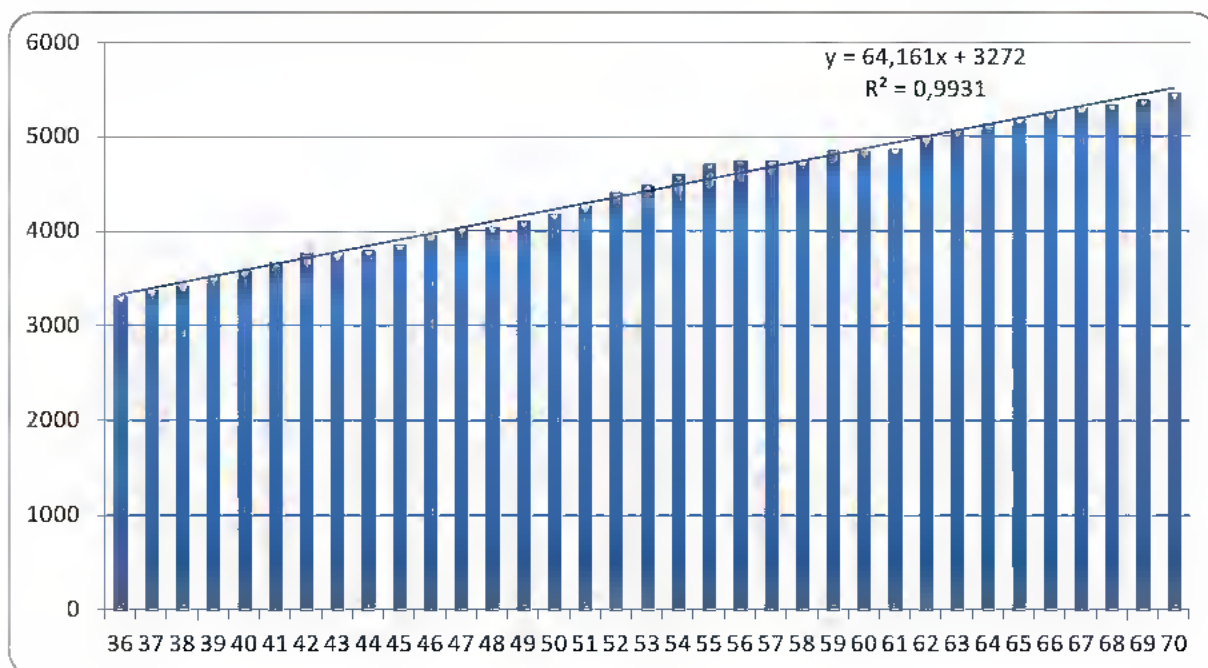
**Tab. 3. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów leczenia RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS oraz łuszczycy plackowatej.**

Data	RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS		Łuszczycy plackowata	
	Protokół	Aktywnie leczeni	Protokół	Aktywnie leczeni
styczeń 12	36	3 321		
luty 12	37	3 383		
marzec 12	38	3 424		
kwiecień 12	39	3 528		
maj 12	40	3 590		
czerwiec 12	41	3 676		
lipiec 12	42	3 767		
sierpień 12	43	3 772		
wrzesień 12	44	3 804		
październik 12	45	3 859		
listopad 12	46	3 959		
grudzień 12	47	4 046		

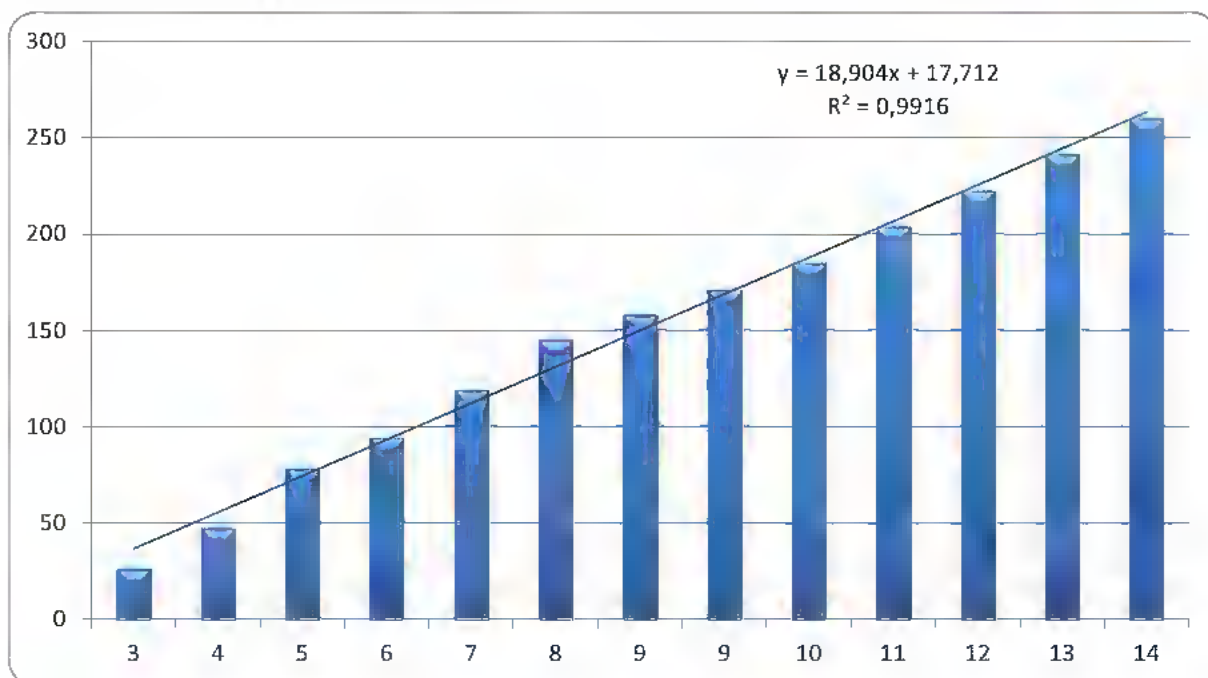
Data	RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS		Łuszczyca płackowata	
	Protokół	Aktywnie leczeni	Protokół	Aktywnie leczeni
styczeń 13	48	4 049		
luty 13	49	4 108		
marzec 13	50	4 180	1	bd
kwiecień 13	51	4 271		
maj 13	52	4 413	2	bd
czerwiec 13	53	4 486	3	26
lipiec 13	54	4 600	4	47
sierpień 13	55	4 716	5	78
wrzesień 13	56	4 748	6	94
październik 13	57	4 748	7	119
listopad 13	58	4 749	8	145
grudzień 13	59	4 855	9	bd (158)
styczeń 14	60	4 849	9	171
luty 14	61	4 874	10	185
marzec 14	62	4 990	11	bd (204)
kwiecień 14	63	5 082	12	bd (223)
maj 14	64	5 134	13	bd (241)
czerwiec 14	65	5 200	14	260
lipiec 14	66	5 255		
sierpień 14	67	5 305		
wrzesień 14	68	5 339		
październik 14	69	5 391		
listopad	70	5 470		

W celu oszacowania liczebności populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana w I i II roku analizy w obu przypadkach założono wzrostowy trend liniowy ze względu na najlepsze dopasowanie.

**Ryc. 1. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów leczenia RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.**



**Ryc. 2. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programu leczenia łuszczycy płackowatej na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Płackowatej.**





**Tab. 4. Prognozowana liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów lekowych dla RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS oraz łuszczycy plackowatej w kolejnych miesiącach z uwzględnieniem wzrostowego trendu liniowego.**

Rok	Data	RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS	Łuszczycyca plackowata
2014	lipiec 14	5 255	282
	sierpień 14	5 305	301
	wrzesień 14	5 339	320
	październik 14	5 391	339
	listopad 14	5 470	358
	grudzień 14	5 582	377
2015	styczeń 15	5 646	396
	luty 15	5 710	415
	marzec 15	5 774	434
	kwiecień 15	5 838	453
	maj 15	5 903	471
	czerwiec 15	5 967	490
	lipiec 15	6 031	509
	sierpień 15	6 095	528
	wrzesień 15	6 159	547
	październik 15	6 223	566
	listopad 15	6 288	585
	grudzień 15	6 352	604
2016	styczeń 16	6 416	623
	luty 16	6 480	642
	marzec 16	6 544	660
	kwiecień 16	6 608	679
	maj 16	6 673	698
	czerwiec 16	6 737	717
	lipiec 16	6 801	736
	sierpień 16	6 865	755
	wrzesień 16	6 929	774
	październik 16	6 993	793
	listopad 16	7 057	812
	grudzień 16	7 122	831
2017	styczeń 17	7 186	849

Rok	Data	RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS	Łuszczyca płackowata
	luty 17	7 250	868
	marzec 17	7 314	887
	kwiecień 17	7 378	906
	maj 17	7 442	925
	czerwiec 17	7 507	944
	lipiec 17	7 571	963
	sierpień 17	7 635	982
	wrzesień 17	7 699	1001
	październik 17	7 763	1020
	listopad 17	7 827	1039
	grudzień 17	7 892	1057

W I i II roku analizy etanerceptem może być leczonych odpowiednio [ ] i [ ] chorych z RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych oraz [ ] i [ ] chorych z łuszczycą płackowatą na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Płackowatej.

W oszacowaniach uwzględniono również liczbę chorych z nr-axSpA, którzy mogą być kwalifikowani do programu leczenia etanerceptem, tj. [ ] odpowiednio w I i II roku analizy (sposób oszacowania - patrz rozdz. 3.1.2).

**Tab. 5. Roczna liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.**

Wskazanie	I rok	II rok
RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS (protokoły 36-67)	[ ]	[ ]
łuszczyca płackowata (protokoły 24-67)	[ ]	[ ]
nr-axSpA (protokoły 39-67)	[ ]	[ ]
<b>SUMA</b>	[ ]	[ ]

Liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia mogłaby być zastosowana wyniesie [ ] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

### 3.1.2 Populacja docelowa, wskazana we wniosku

Populację docelową, wskazaną we wniosku, stanowią dorośli chorzy z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

W badaniu Strand 2013<sup>6</sup> rozpowszechnienie zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa oraz spondyloartropatii osiowej bez zmian radiologicznych oceniono na tym samym poziomie, tj. 0,35% (350/100 000 osób). Ponadto, w badaniu Poddubnyy 2012<sup>7</sup> wykazano, że jeżeli objawy choroby trwają 1-6 lat prawdopodobieństwo ZZSK i nr-axSpA jest porównywalne (52,5% ZZSK i 47,5% nr-axSpA). Na podstawie powyższych danych można przyjąć, że chorobowość ZZSK i nr-axSpA jest bardzo podobna.

Zgodnie z treścią [REDAKTOWANE], jak również programu B.36 dla ZZSK, kryteria kwalifikacji do programów są zbliżone i znacznie ograniczają liczebność populacji docelowej do chorych, którzy mogą odnieść więcej korzyści z leczenia.

W związku z powyższym przyjęto, że liczba pacjentów z nr-axSpA kwalifikujących się do leczenia etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego odpowiada liczbie chorych leczonych w ramach programu lekowego B.36 dla ZZSK. Mając na uwadze podobną chorobowość ZZSK i nr-axSpA oraz zbliżone kryteria włączenia do programów lekowych, przyjęte założenie daje możliwość przybliżenia liczebności populacji docelowej. Ze względu na niepewny charakter tego założenia liczebność populacji docelowej testowano w ramach scenariusza minimalnego i maksymalnego.

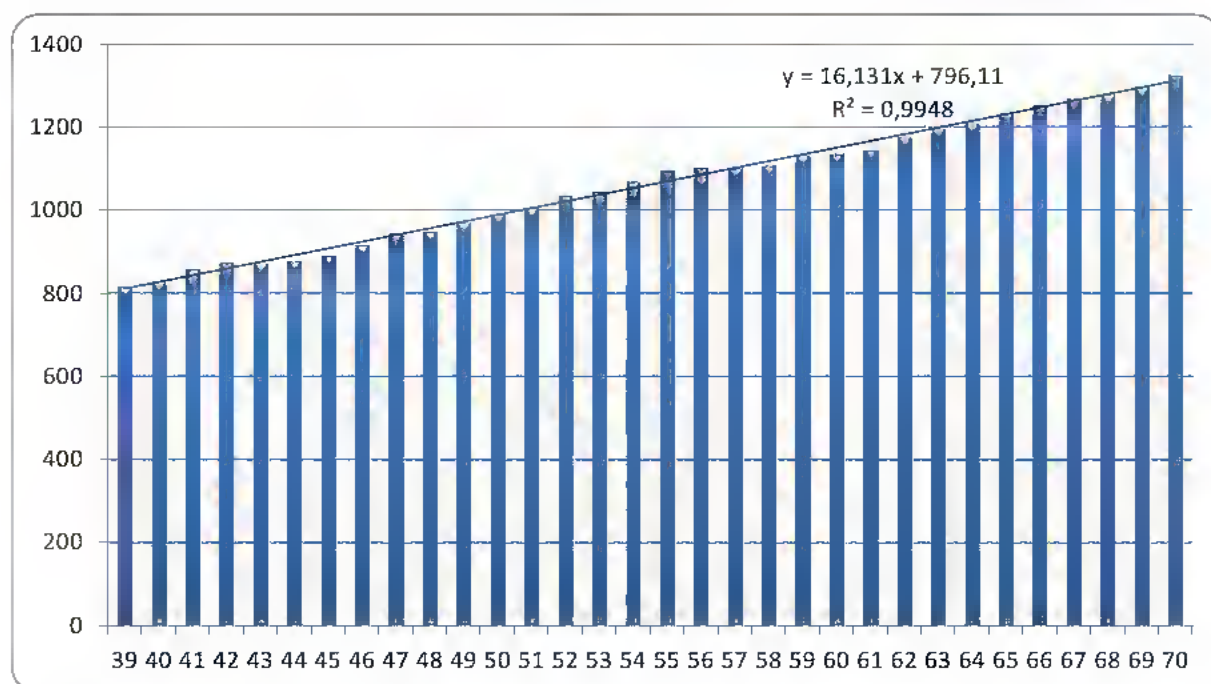
Liczbę pacjentów z nr-axSpA kwalifikujących się do leczenia etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego odpowiadającą liczbie chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi (zakwalifikowane, w toku, nawrót) w ramach programu lekowego B.36 dla ZZSK wyznaczono na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych z założeniem wzrostowego trendu liniowego ze względu na najlepsze dopasowanie.<sup>4</sup>

W analizie uwzględniono dane od kwietnia 2012 roku – sposób raportowania w dostępnych protokołach za okres styczeń 2011-marzec 2012 uniemożliwił wykorzystanie tych danych w analizie.<sup>4</sup>

**Tab. 6. Liczba chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.**

Protokół	Data	Wszystkie programy	Wszyscy leczeni	Odsetek leczonych	ZZSK	ZZSK leczeni
39	kwiecień 12	5 163	3 528	68%	1 192	815
40	maj 12	5 285	3 590	68%	1 220	829
41	czerwiec 12	5 452	3 676	67%	1 271	857
42	lipiec 12	5 637	3 767	67%	1 307	873
43	sierpień 12	5 688	3 772	66%	1 317	873
44	wrzesień 12	5 764	3 804	66%	1 330	878
45	październik 12	5 889	3 859	66%	1 357	889
46	listopad 12	6 077	3 959	65%	1 407	917
47	grudzień 12	6 179	4 046	65%	1 442	944
48	styczeń 13	6 263	4 049	65%	1 466	948
49	luty 13	6 354	4 108	65%	1 501	970
50	marzec 13	6 509	4 180	64%	1 543	991
51	kwiecień 13	6 659	4 271	64%	1 571	1008
52	maj 13	6 811	4 413	65%	1 599	1036
53	czerwiec 13	6 934	4 486	65%	1 614	1044
54	lipiec 13	7 100	4 600	65%	1 649	1068
55	sierpień 13	7 268	4 716	65%	1 688	1095
56	wrzesień 13	7 362	4 748	64%	1 708	1102
57	październik 13	7 449	4 748	64%	1 727	1101
58	listopad 13	7 572	4 749	63%	1 765	1107
59	grudzień 13	7 722	4 855	63%	1 802	1133
60	styczeń 14	7 814	4 849	62%	1 829	1135
61	luty 14	7 915	4 874	62%	1 858	1144
62	marzec 14	8 039	4 990	62%	1 893	1175
63	kwiecień 14	8 195	5 082	62%	1 928	1196
64	maj 14	8 278	5 134	62%	1 949	1209
65	czerwiec 14	8 393	5 200	62%	1 991	1234
66	lipiec 14	8 504	5 255	62%	2 030	1254
67	sierpień 14	8 607	5 305	62%	2 061	1270
68	wrzesień 14	8 749	5 339	61%	2 095	1278
69	październik 14	8 870	5 391	61%	2 131	1295
70	listopad 14	9 032	5 470	61%	2 187	1 325

**Ryc. 3. Liczba chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.**



**Tab. 7. Prognozowana liczba chorych w kolejnych miesiącach na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych z uwzględnieniem wzrostowego trendu liniowego.**

Rok	Data	nr-axSpA leczeni
2014	grudzień 14	1328
2015	styczeń 15	1345
	luty 15	1361
	marzec 15	1377
	kwiecień 15	1393
	maj 15	1409
	czerwiec 15	1425
	lipiec 15	1441
	sierpień 15	1457
	wrzesień 15	1474
	październik 15	1490
	listopad 15	1506
	grudzień 15	1522
2016	styczeń 16	1538
	luty 16	1554
	marzec 16	1570
	kwiecień 16	1587

Rok	Data	nr-axSpA leczeni
	maj 16	1603
	czerwiec 16	1619
	lipiec 16	1635
	sierpień 16	1651
	wrzesień 16	1667
	październik 16	1683
	listopad 16	1699
	grudzień 16	1716
2017	styczeń 17	1732
	luty 17	1748
	marzec 17	1764
	kwiecień 17	1780
	maj 17	1796
	czerwiec 17	1812
	lipiec 17	1828
	sierpień 17	1845
	wrzesień 17	1861
	październik 17	1877
	listopad 17	1893
	grudzień 17	1909

W analizie podstawowej przyjęto średnią liczbę chorych w danym roku, w scenariuszu minimalnym – wartość ze stycznia, natomiast w scenariuszu maksymalnym – wartość z grudnia – patrz tabela poniżej.

**Tab. 8. Prognozowana liczba chorych w kolejnych latach analizy na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.**

Wariant	I rok	II rok
analiza podstawowa	1627	1820
scenariusz minimalny	1538	1732
scenariusz maksymalny	1716	1909

Kluczowe parametry wskazujące na rozpoznanie nr-axSpA, uwzględnione w kryteriach włączenia do programu lekowego, stanowią obiektywne objawy przedmiotowe zapalenia, [REDACTED]

Zgodnie z wynikami badania Dougados 2014<sup>10</sup> większe numeryczne różnice w częstości odpowiedzi ASAS40 pomiędzy grupą etanerceptu i grupą placebo uzyskiwano u pacjentów ze zwiększonym stężeniem białka C-reaktywnego oraz zmianami w badaniu MRI w porównaniu do pacjentów z normalnym stężeniem CRP oraz bez zmian w badaniu MRI,

[Redacted text block]

Tab. 9. Roczna liczebność populacji docelowej, wskazanej we wniosku.

Wariant	I rok	II rok
analiza podstawowa	■	■
scenariusz minimalny	■	■
scenariusz maksymalny	■	■
analiza wrażliwości	■	■

Liczebność populacji docelowej, wskazanej we wniosku wynosi ■ pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy zgodnie z założeniami analizy podstawowej, ■

<sup>10</sup>Jednoznaczne wnioskowanie o większych klinicznych korzyściach w subpopulacjach chorych jest ograniczone ze względu na wyniki testu interakcji między grupami, który nie osiągnęły poziomu istotności statystycznej.

pacjentów zgodnie z założeniami scenariusza minimalnego, [REDACTED] pacjentów zgodnie z założeniami scenariusza maksymalnego oraz [REDACTED] pacjentów zgodnie z założeniami analizy wrażliwości.

### 3.1.3 Populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Etanercept nie jest obecnie stosowany u chorych z nr-axSpA ze względu na brak refundacji w analizowanym wskazaniu. Roczna liczebność populacji z nr-axSpA, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana wynosi 0 pacjentów.

Etanercept obecnie finansowany jest w ramach następujących programów lekowych:

- B.33.: Leczenie reumatoidalnego zapalenia stawów i młodzieńczego idiopatycznego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ICD-10 M 05, M 06, M 08);
- B.35.: Leczenie łuszczykowego zapalenia stawów o przebiegu agresywnym (ŁZS) (ICD-10 L 40.5, M 07.1, M 07.2, M 07.3);
- B.36.: Leczenie inhibitorami TNF alfa świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (ZZSK) (ICD-10 M 45);
- B.47. Leczenie ciężkiej postaci łuszczycy plackowatej (ICD-10 L 40.0).<sup>1</sup>

W oszacowaniach pominięto produkt Enbrel, proszek i rozpuszczalnik do sporządzania roztworu do wstrzykiwań do stosowania u dzieci, 10 mg/ml.<sup>1</sup>

Zgodnie z najnowszym komunikatem DGL,<sup>8</sup> od stycznia do sierpnia 2014 r. (243 dni) wydano 12 765 opakowań etanerceptu w dawce 50 mg oraz 1 755 opakowań etanerceptu w dawce 25 mg. Zgodnie z ChPL etanerceptu zalecana dawka dla dorosłych pacjentów wynosi 50 mg raz w tygodniu (DDD=7,1 mg).<sup>3</sup> Opakowanie etanerceptu w dawce 50 mg zawiera 200 mg, tj. 28 DDD leku, natomiast opakowanie etanerceptu w dawce 25 mg zawiera 100 mg, tj. 14 DDD leku. W związku z powyższym, w okresie 243 dni sprzedano łącznie 381 980 DDD leku. Oznacza to, że roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana w oparciu o liczbę zrefundowanych opakowań w okresie styczeń-sierpień 2014 r. oszacowano na 1 572 pacjentów.

Zgodnie z najnowszym komunikatem DGL,<sup>8</sup> od stycznia do sierpnia 2014 r. (243 dni) wartość refundacji dla produktu Enbrel® wyniosła 53 114 368 PLN, co przy koszcie 149,85 PLN/DDD<sup>1</sup> oznacza 354 450 wydanych DDD. W związku z powyższym, roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana w oparciu o wartość refundacji w okresie styczeń-sierpień 2014 r. oszacowano na 1 459 pacjentów.



**Tab. 10. Roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana.**

Komunikat DGL stycznia-listopad 2014 r.	Liczba DDD	Liczba dni	Liczba pacjentów
liczba opakowań	381 980	243	1 572
wartość refundacji	354 450	243	1 459
<b>Średnia</b>	<b>368 215</b>	<b>243</b>	<b>1 515</b>

Roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana wynosi ok. 1 515 pacjentów.

### 3.1.4 Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji

Treść [REDAKTOWANE] jest zbliżona do programu B.36 dla ZZSK, w związku z czym można zakładać, że realizacja programu będzie odbywać się sprawnie, w tych samych ośrodkach, co program dla ZZSK.

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

**Tab. 11. Roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji.**

Wariant	I rok	II rok
analiza podstawowa	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
scenariusz minimalny	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
scenariusz maksymalny	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

Liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji wynosi [REDAKTOWANE] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy zgodnie z założeniami analizy podstawowej, [REDAKTOWANE] pacjentów zgodnie z założeniami scenariusza minimalnego oraz [REDAKTOWANE] pacjentów zgodnie z założeniami scenariusza maksymalnego.

### 3.1.5 Podsumowanie oszacowań populacji

Podsumowanie oszacowań rocznych liczebności populacji zebrano w poniższej tabeli.

**Tab. 12. Populacja – podsumowanie oszacowań.**

Populacja	I, II rok analizy	Rozdział
populacja obejmująca wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	8 192, 9 272	3.1.1
populacja docelowa, wskazana we wniosku	■	3.1.2
populacja, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	1 515	3.1.3
populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji	■	3.1.4

## 3.2 Perspektywa

Zgodnie z rozporządzeniem MZ z dnia 2 kwietnia 2012 roku w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu,<sup>2</sup> analizę wpływu na budżet należy przeprowadzić z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).

Zgodnie z wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM; wersja 2.1) „Analizę wpływu na budżet należy przeprowadzić z perspektywy płatnika publicznego oraz pacjenta, w przypadku współpłacenia.”<sup>9</sup>

Niniejszą analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta (współpłacenie za leczenie objawowe).

## 3.3 Horyzont czasowy analizy

Zgodnie z Wytycznymi oceny technologii medycznych (HTA) Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM) „Zazwyczaj stosowany jest przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku lub obejmujący co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych.”<sup>9</sup>

Zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia dotyczącym minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach refundacyjnych, horyzont czasowy właściwy dla analizy wpływu na budżet powinien obejmować perspektywę czasową, w której szacowane są wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, związane ze stosowaniem wnioskowanej technologii, obejmującą

przewidywany przedział czasu wystarczający do ustalenia równowagi na rynku i nie krótszy niż 2 lata od zajścia zmiany wynikającej z wydania przez ministra właściwego do spraw zdrowia decyzji o objęciu refundacją.<sup>2</sup>

W związku z powyższym niniejszą analizę przeprowadzono w 2-letnim horyzoncie czasowym zakładając, że będzie wystarczający do określenia kierunku zachowania się rynku.

Przeprowadzenie oszacowań w dłuższym horyzoncie, ze względu na obowiązywanie decyzji na 2 lata, procesy negocjacyjne z podmiotami odpowiedzialnymi, jak również możliwe wprowadzanie finansowania kolejnych leków, w tym adalimumabu i certolizumabu pegol w analizowanym wskazaniu, nie podniesie jakości analizy.

Biorąc pod uwagę datę złożenia wniosku oraz przewidywany czas trwania procedury refundacyjnej, [REDAKTOWANE], jako realistyczny termin wprowadzenia finansowania przyjęto początek 2016 roku. Rozważany horyzont obejmuje zatem okres od początku stycznia 2016 r. do końca grudnia 2017 roku.

### 3.4 Scenariusze

W analizie wpływu na system ochrony zdrowia porównano skutki finansowe dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia oraz NFZ i pacjenta łącznie dla dwóch scenariuszy:

- scenariusza istniejącego, będącego naturalnym punktem odniesienia do liczenia zmian obciążenia budżetu, zakładającego brak finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA – stosowanie leczenia objawowego;
- scenariusza nowego, zakładającego finansowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA – stosowanie etanerceptu i leczenia objawowego.

W analizie pominięto adalimumab i certolizumab pegol ze względu na brak finansowania tych substancji czynnych oraz wysoki koszt zakupu leków dla chorego.

#### 3.4.1 Scenariusz istniejący

Scenariusz istniejący przedstawia ilościową prognozę liczby chorych i rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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**.

W scenariuszu istniejącym założono brak finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA, tj. stosowanie leczenia objawowego.

Poniżej przedstawiono oszacowania liczby chorych stosujących leczenie objawowe zgodnie z założeniami analizy podstawowej, scenariusza minimalnego i scenariusza maksymalnego.

**Tab. 13. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu istniejącym.**

Parametr	I rok	II rok
Analiza podstawowa	■	■
Scenariusz minimalny	■	■
Scenariusz maksymalny	■	■

**Ryc. 4. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu istniejącym.**



### 3.4.2 Scenariusz nowy

Scenariusz nowy przedstawia ilościową prognozę liczby chorych i rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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.

W scenariuszu nowym założono finansowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA, tj. stosowanie etanerceptu i leczenia objawowego.

Poniżej przedstawiono oszacowania liczby chorych stosujących etanercept i leczenie objawowe zgodnie z założeniami analizy podstawowej, scenariusza minimalnego i scenariusza maksymalnego.

Tab. 14. Liczba chorych stosujących etanercept w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.

Parametr	I rok	II rok
Analiza podstawowa	■	■
Scenariusz minimalny	■	■
Scenariusz maksymalny	■	■

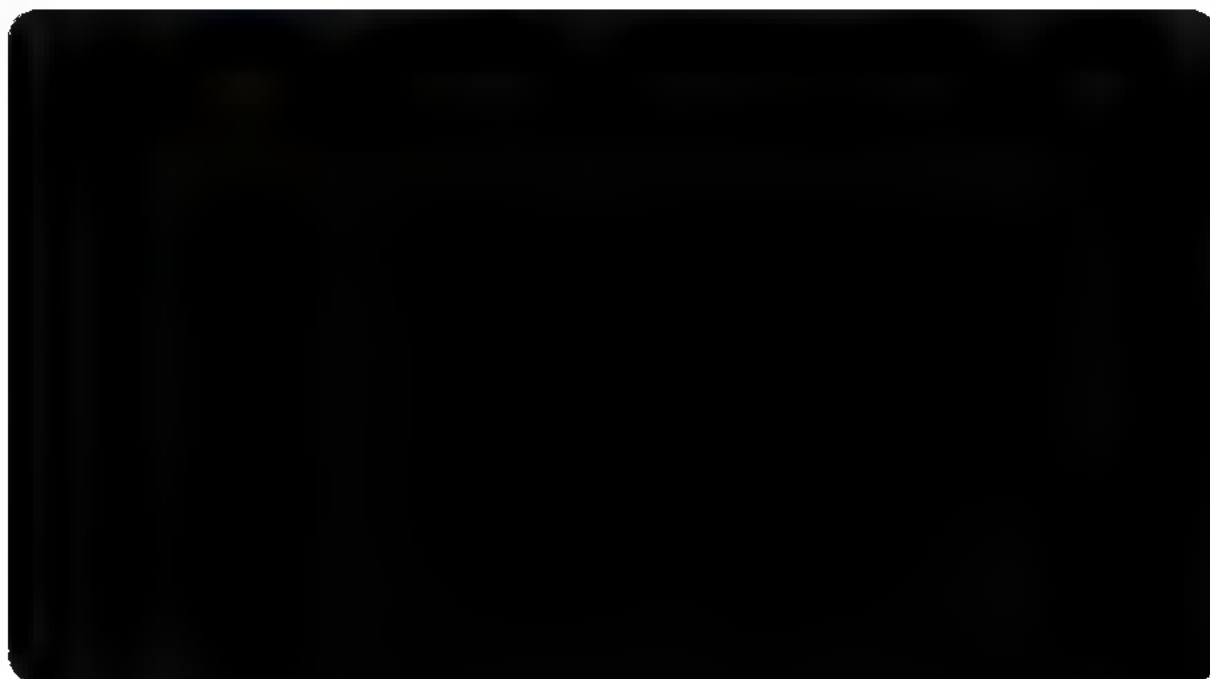
Ryc. 5. Liczba chorych stosujących etanercept w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.



Tab. 15. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.

Parametr	I rok	II rok
Analiza podstawowa	■	■
Scenariusz minimalny	■	■
Scenariusz maksymalny	■	■

Ryc. 6. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.



### 3.5 Parametry

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem kosztów nabycia i podania substancji czynnych, jak również kosztów związanych z kwalifikacją do leczenia i monitorowaniem chorego.

Przyjęto upraszczające założenie o pełnym przestrzeganiu zaleceń lekarskich i braku możliwości zmiany lub przerwania terapii w analizowanym horyzoncie czasowym.

#### 3.5.1 Długość terapii

Zgodnie z treścią [redacted], jak również programu B.36 dla ZZSK, wskazaniem do kontynuacji leczenia inhibitorami TNF- $\alpha$  jest m.in. uzyskanie adekwatnej odpowiedzi na zastosowany inhibitor TNF alfa, definiowanej jako zmniejszenie wartości BASDAI przynajmniej o 50% w stosunku do wartości sprzed leczenia po 12 tygodniach terapii.

Adekwatną odpowiedź po 12 tygodniach terapii etanerceptem uzyskało 44% pacjentów z nr-axSpA zgodnie z wynikami badania Dougados 2014<sup>10</sup> oraz 57%-60% pacjentów z ZZSK na podstawie badań Brandt 2003<sup>11</sup> i van der Heijde 2006<sup>12</sup>.

W związku z powyższym przyjęto konserwatywne założenie, zgodnie z którym włączenie nowych chorych do programu leczenia nr-axSpA oraz wykluczanie chorych z programu z powodu braku skuteczności ma podobną dynamikę, jak w przypadku programu B.36 dla ZZSK.

Bazując na liczebności populacji oszacowanej na podstawie protokołów, określono liczbę chorych aktualnie leczonych niezależnie od momentu rozpoczęcia terapii i jej kontynuacji, tym samym parametr skuteczności determinujący dalszą terapię (i jej długość) jest zaincorporowany w oszacowanej liczebności aktywnie leczonych chorych (uwzględniającej chorych przerywających leczenie i rozpoczynających terapię).

### 3.5.2 Dawkowanie leków

Dobową dawkę etanerceptu przyjęto zgodnie z dawkowaniem stosowanym w badaniu Dougados 2014<sup>10</sup>, które jest zgodne ze schematem dawkowania przedstawionym w Charakterystyce Produktu Leczniczego (ChPL)<sup>3</sup> oraz DDD wg WHO,<sup>13</sup> tj. 50 mg raz w tygodniu.

Dawki dobowe leków stosowanych w ramach leczenia objawowego przyjęto na podstawie wyników badania ankietowego – patrz analiza ekonomiczna.<sup>14</sup>

### 3.5.3 Dane kosztowe

Parametry kosztowe zostały oszacowane przez 3 analityków [REDACTED]

Uwzględniono:

- koszty zakupu leków (patrz rozdz. 3.5.3.1),
- koszty podania leków (patrz rozdz. 3.5.3.2),
- koszty kwalifikacji do leczenia (patrz rozdz. 3.5.3.3),
- koszty standardowego monitorowania chorego (patrz rozdz. 3.5.3.4).

Zużycie zasobów oszacowano na podstawie wyników badania ankietowego, które przeprowadzono w listopadzie 2014 r. wśród 3 polskich ekspertów w dziedzinie reumatologii. Treść kwestionariusza przedstawiono w analizie ekonomicznej.<sup>14</sup> Na podstawie danych ankietowych odnośnie zużytych zasobów przypisano koszty jednostkowe i oszacowano koszty z perspektywy NFZ oraz z perspektywy łącznej NFZ i pacjenta (koszty zostały przypisane podanemu zużyciu zasobów przez jednego analityka [REDACTED] i zweryfikowane przez drugiego analityka [REDACTED]).

Wszystkie koszty są podane w PLN i są aktualne na listopad 2014 r. Koszty leków refundowanych przypisano na podstawie aktualnego Obwieszczenia MZ obowiązującego w okresie listopad-grudzień 2014 r.<sup>1</sup> Koszty leków nierefundowanych na podstawie Indeksu Leków Medycyny Praktycznej (MP),<sup>15</sup> z uwzględnieniem podziału na koszt ponoszony przez NFZ oraz koszt łączny ponoszony przez NFZ i pacjenta.

W przypadku kosztów przypisanych na podstawie Zarządzeń NFZ, gdzie podana jest wycena punktowa danej procedury, wartość jednego punktu rozliczeniowego przyjęto zgodnie z Informatorem o umowach Narodowego Funduszu Zdrowia na rok 2014 (średnia arytmetyczna z ośrodków o największej wielkości kontraktu z 5 wybranych województw).<sup>16</sup>

W dokumencie podano koszty zaokrąglone.

W analizie nie uwzględniono kosztów pośrednich, ze względu na brak wiarygodnych danych dotyczących kosztów utraconej produktywności związanych bezpośrednio z nr-axSpA oraz jej powikłaniami, co oznacza, że całkowite koszty leczenia chorych z nr-axSpA mogą być niedoszacowane. Dodatkowo, brak spójnej metodyki dotyczącej szacowania tej kategorii kosztów znacznie ogranicza możliwość wiarygodnego wnioskowania.

### 3.5.3.1 Koszt zakupu leków

#### 3.5.3.1.1 Etanercept

[Redacted text block]

U dorosłych chorych stosowane są dwa preparaty dla dawki 50 mg (preparat zawierający 4 ampułko-strzykawki oraz preparat zawierający 4 wstrzykiwacze) i jeden preparat dla dawki dwukrotnie mniejszej - 25 mg (preparat zawierający 4 fiołki). [Redacted text block]

[Redacted text block]

Koszty roczne etanerceptu zebrano w poniższej tabeli. [Redacted text block]

[Redacted text block]



**Tab. 16. Koszt zakupu etaneceptu.\***

Preparat	Dawka w opak., mg	Koszt opakowania,** PLN	Dawkowanie,# mg/tydzień	Koszt roczny ETN,**# PLN/rok
Enbrel, 50 mg, 4 amp-strzykawki	200	██████████	50	██████████
Enbrel, 50 mg, 4 wstrz.	200	██████████	50	██████████
Enbrel, 25 mg, 4 fiol.	100	██████████	50	██████████

\* cały koszt ponoszony jest przez NFZ, w związku z czym koszt z perspektywy NFZ oraz z perspektywy łącznej NFZ i pacjenta jest taki sam; ██████████ # wg ChPL i badania Dougados 2014; ## przy uwzględnieniu 52,1775 tyg. w roku.

### 3.5.3.1.2 Leczenie objawowe

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

Koszty leków refundowanych (tj. poza paracetamolem, buprenorfiną w postaci roztworu do wstrzykiwań i naproksenem w postaci żelu) przypisano na podstawie aktualnego Obwieszczenia MZ obowiązującego w okresie listopad-grudzień 2014 r.<sup>1</sup> Koszty leków nierefundowanych na podstawie Indeksu Leków Medycyny Praktycznej (MP),<sup>15</sup> z uwzględnieniem podziału na koszt ponoszony przez NFZ oraz koszt łączny – ponoszony przez NFZ i pacjenta.

Koszt zabiegów oszacowano w oparciu o wartość punktową na podstawie Zarządzenia Nr 80/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 16 grudnia 2013 i wycenę punktu na podstawie informacji o umowach zawartych przez poszczególne Oddziały Wojewódzkie NFZ w 2014 roku:<sup>11</sup>

- w przypadku krioterapii przyjęto wycenę dla fizjoterapii ambulatoryjnej lub rehabilitacji ogólnoustrojowej w ośrodku/oddziale dziennym, lub rehabilitacji

<sup>11</sup> Średnia arytmetyczna z 5 wybranych województw dla ośrodków z najwyższą liczbą kontraktów - w przypadku występowania kilku produktów kontraktowanych (lub ich różnej wartości) odpowiadających danym świadczeniom w ośrodku z najwyższą wielkością kontraktów uwzględniano średnią ważoną wielkościami kontraktu dla tych produktów w danym ośrodku.

ogólnoustrojowej w warunkach stacjonarnych (wszystkie trzy produkty kontraktowane obejmują zabiegi krioterapii) – 1,03 PLN/pkt,

- w przypadku jonoforezy i termoterapii dla fizjoterapii ambulatoryjnej – 1,08 PLN/pkt.

Koszt łączny leczenia objawowego oszacowano na **206,86 PLN** z perspektywy NFZ oraz na **418,52 PLN** z perspektywy łącznej NFZ i pacjenta.

Tab. 17. Roczny koszt leków\* i zabiegów stosowanych w ramach leczenia objawowego.

Lek	Średnia dawka dobowa, mg	Długość leczenia, dni	Odsetek chorych, %	Koszt jednost- kowy NFZ, PLN/mg	Koszt jednost- kowy NFZ i pa- cjenta łącznie, PLN/mg	Źródło kosztu	Koszt NFZ, PLN/rok	Koszt NFZ i pacjenta łącznie, PLN/rok
<b>NLPZ</b>								
meloksykam	15	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
naproksen (tabl.)	875	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
diklofenak	142	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
ketoprofen	200	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
naproksen żel	███	███	██	███	███	Indeks Leków MP	██	██
<b>leki przeciwbólowe</b>								
paracetamol	2167	███	██	██	██	Indeks Leków MP	██	██
tramadol	100	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
paracetamol/tramadol	███	███	██	███	███	Obwieszczenie MZ	██	██
buprenorfina (roztwór do wstrzykiwań)	███	███	██	██	██	Indeks Leków MP	██	██
<b>glikokortykosteroidy (dostawowe)</b>								
metyprednizolon	8	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██
prednizon	5	███	██	██	██	Obwieszczenie MZ	██	██

betametazon	5	■	■	■	■	Obwieszczenie MZ	■	■
<b>inne</b>								
sulfasalazyna	2000	■	■	■	■	Obwieszczenie MZ	■	■
Nazwa świadczenia	Kod świadczenia	Wartość punktowa, pkt <sup>†‡</sup>	Wycena punktu, PLN/pkt <sup>##</sup>	Odsetek chorych, %	Długość leczenia	Źródło dla wartości punktowej <sup>!</sup>	Koszt NFZ, PLN/rok	Koszt NFZ i pacjenta łącznie, PLN/rok
<b>zabiegi</b>								
krioterapia	5.11.01.0000055	25	1,03	■	■	Zarządzenia Prezesa NFZ Nr 80/2013/DSOZ	■	■
jonoforeza (z diklofenakiem)	5.11.01.0000025	5	1,08	■	■	Zarządzenia Prezesa NFZ Nr 80/2013/DSOZ	■	■
termoterapia	5.11.01.0000076	3	1,08	■	■	Zarządzenia Prezesa NFZ Nr 80/2013/DSOZ	■	■
<b>łącznie</b>							<b>206,86</b>	<b>418,52</b>

\* przyjęto postaci doustne (ze względu na długość podania leków); \*\* założenie; † przyjęto wartość punktową w warunkach laboratoryjnych; ## wycenę punktu przyjęto jako średnią arytmetyczną z 5 wybranych województw dla ośrodków z najwyższą wielkością kontraktów: w przypadku krioterapii wycenę dla fizjoterapii ambulatoryjnej lub rehabilitacji ogólnoustrojowej w ośrodku/oddziale dziennym, lub rehabilitacji ogólnoustrojowej w warunkach stacjonarnych (wszystkie trzy produkty kontraktowane obejmują zabiegi krioterapii), a w przypadku jonoforezy i termoterapii dla fizjoterapii ambulatoryjnej - w przypadku występowania kilku produktów kontraktowanych (lub ich różnej wartości) odpowiadających danym świadczeniom w ośrodku z najwyższą wielkością kontraktów uwzględniano średnią ważoną wielkościami kontraktu dla tych produktów w danym ośrodku.

### 3.5.3.2 Koszt podania leków

Etanercept podawany jest we wstrzyknięciu podskórnym. W zależności od preferencji i umiejętności chorego lek może zostać podany przez personel medyczny lub samodzielnie przez chorego w domu. Zgodnie z opiniami ankietowanych lek ten podawany jest w domu przez chorego, a wydanie leku choremu występuje raz w miesiącu.

Koszt wydania etanerceptu w programie lekowym przyjęto w oparciu o Zarządzenie Nr 57/2014/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2014 r. (Katalog świadczeń i zakresów - leczenie szpitalne - programy zdrowotne (lekowe) - przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu – 2 pkt).

Wartość jednego punktu rozliczeniowego przyjęto na podstawie informacji o umowach zawartych przez poszczególne Oddziały Wojewódzkie NFZ w 2014 roku na 52 PLN/pkt. dla programu lekowego.

W związku z powyższym, koszt 1 podania etanerceptu wynosi 104 PLN, co odpowiada **1 248,00 PLN** w ciągu roku.

Leki wchodzące w skład leczenia objawowego to leki doustne przepisywane przez lekarzy Podstawowej Opieki Zdrowotnej (POZ). Koszt wizyt u lekarza POZ pominięto - stawka kapitacyjna. W związku z tym, koszt podania leków wchodzących w skład leczenia objawowego wynosi **0 PLN**.

Tab. 18. Koszt podania leków.

Lek	Procedura	Wycena punktowa	Wartość punktu, PLN	Koszt, PLN/podanie	Koszt, PLN/rok
etanercept	przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu 1 raz w miesiącu związane z wydaniem leku	2 pkt	52	104*	1 248,00
leczenie objawowe	brak (POZ – stawka kapitacyjna)	0	0	0	0

\* przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym związane z wykonaniem programu (kod świadczenia 5.08.07.0000004, wartość punktowa 2); wycena punktu rozliczeniowego zgodnie z Informatorem o umowach NFZ w roku 2014.

### 3.5.3.3 Koszt kwalifikacji do leczenia

Zgodnie z opinią ankietowanych koszty kwalifikacji i weryfikacji leczenia biologicznego w ramach programu lekowego w przypadku etanerceptu przyjęto na podstawie Zarządzenia Nr 57/2014/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2014 r. (Katalog świadczeń i zakresów - leczenie szpitalne - programy zdrowotne (lekowe) - kwalifikacja i weryfikacja leczenia biologicznego w chorobach reumatycznych - 6,25 pkt).

Wartość jednego punktu rozliczeniowego przyjęto na podstawie informacji o umowach zawartych przez poszczególne Oddziały Wojewódzkie NFZ w 2014 roku na 52 PLN/pkt. dla programu lekowego.

W związku z powyższym, jednorazowy koszt kwalifikacji i weryfikacji leczenia biologicznego dla etanerceptu wynosi **325,00 PLN** (koszty ponoszone w całości przez NFZ).

Zgodnie z opinią ankietowanych brak jest kosztów kwalifikacji do leczenia objawowego, w związku z czym koszt ten wynosi **0 PLN**.

**Tab. 19. Koszt kwalifikacji do leczenia**

Terapia, kategoria	Procedura	Wycena punktowa	Wartość punktu, PLN	Koszt, PLN
etanercept	kwalifikacja i weryfikacja leczenia biologicznego w chorobach reumatycznych (procedura jednokrotna u wszystkich chorych)	6,25	52	<b>325,00*</b>
leczenie objawowe	nie dotyczy	0	0	<b>0</b>

\* Zarządzenie Nr 57/2014/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2014 r.: Katalog świadczeń i zakresów - leczenie szpitalne - programy zdrowotne (lekowe) - kwalifikacja i weryfikacja leczenia biologicznego w chorobach reumatycznych - 6,25 pkt; wycena punktu rozliczeniowego zgodnie z Informatorem o umowach NFZ w roku 2014.

W badaniu Nell-Duxneuner 2012<sup>17</sup> wykazano, że etanercept stosowany jest średnio przez 1-2 lata. Czas trwania terapii etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA można zatem przyjąć na ok. 1 rok. W związku z powyższym oraz bazując na liczbie aktywnych terapii (niezależnie od momentu rozpoczęcia i przerwania terapii) koszt kwalifikacji do leczenia naliczono każdemu choremu w każdym roku analizy.

### 3.5.3.4 Koszt standardowego monitorowania chorego

W niniejszej analizie założono, że standardowe monitorowanie chorych z nr-axSpA leczonych etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego będzie finansowane przez NFZ na zasadach zgodnych z obowiązującymi dla programu B.36. Leczenie inhibitorami TNF alfa świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (ZZSK), tj. raz w roku (ryczałt) zgodnie z Zarządzeniem Nr 57/2014/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2014 r. (Katalog ryczałtów za diagnostykę w programach lekowych - Diagnostyka w programie leczenia inhibitorami TNF alfa świadczeniobiorców z ciężką, aktywną postacią zeszywniającego zapalenia stawów kręgosłupa (ZZSK) – 14,40 pkt).

Wartość jednego punktu rozliczeniowego przyjęto na podstawie informacji o umowach zawartych przez poszczególne Oddziały Wojewódzkie NFZ w 2014 roku:

- program lekowy - 52 PLN/pkt,
- ambulatoryjna opieka specjalistyczna - 9,37 PLN/pkt.‡

W związku z powyższym, roczny koszt standardowego monitorowania chorego leczonego etanerceptem w ramach programu lekowego wynosi **748,80 PLN**, natomiast leczeniem objawowym - **262,33 PLN** (patrz tabela poniżej).

**Tab. 20. Koszt standardowego monitorowania chorego.**

Terapia, kategoria	Procedura	Liczba w roku	Odsetek chorych, %	Wycena punkto- wa, pkt	Wartość punktu, PLN	Koszt jednost- kowy, PLN	Koszt, PLN/rok
etaner- cept	diagnostyka w pro- gramie leczenia inhi- bitorami TNF alfa świadczeniobiorców z osiową spondyloar- tropatią bez zmian radiologicznych (jak dla programu dla chorych z ZZSK)	1 (rozli- czanie ryczałto- we)	100%	14,40	52,00	748,80	<b>748,80</b>
leczenie objawo- we				7,00	9,37	65,58	<b>262,33</b>

\* w tym: morfologia krwi, OB., CRP, AspAT, AlAT.

### 3.5.4 Dyskontowanie

W analizie wpływu na system ochrony zdrowia nie przeprowadzono dyskontowania kosztów, ponieważ ten typ analizy przedstawia przepływ środków finansowych w cza- sie.

‡ Średnia arytmetyczna z 5 wybranych województw dla ośrodków z najwyższą liczbą kontraktu (w przypadku różnych wycen danego świadczenia w ośrodku przyjęto średnią ważoną).

### **3.5.5 Współczynnik *compliance***

Przyjęto, że pacjenci przyjmują 100% dawki przewidywanej w leczeniu.

### **3.5.6 Analiza wrażliwości**

W celu oceny wrażliwości wyników analizy w odniesieniu do niepewności parametrów, takich jak [REDACTED] oraz koszty leczenia objawowego, przeprowadzono jednokierunkowe analizy wrażliwości.

W jednokierunkowych analizach wrażliwości, poza parametrem testowanym zmienionym w ustalonym zakresie, pozostałe parametry zostały na poziomie wartości przyjętych w scenariuszu podstawowym analizy.

Opis analizowanych scenariuszy przedstawiono w tabeli poniżej.



Tab. 21. Analiza wrażliwości – założenia scenariuszy.

SA	Parametr	Analiza podstawowa		Analiza wrażliwości	
		Wartość	Źródło	Wartość	Źródło
1A					
2A					
2B					
3A	koszty leczenia objawowego, perspektywa NFZ/NFZ+pacjent, PLN/rok	koszty zakupu leków koszty monitorowania 206,86/418,52			
3B		262,33/262,33			

### 3.5.7 Podsumowanie założeń i parametrów

- Ze względu na zbliżoną chorobowość (badania Strand 2013<sup>6</sup> i Poddubnyy 2012<sup>7</sup>) oraz podobne kryteria włączenia do programu leczenia nr-axSpA i ZZSK przyjęto, że liczba pacjentów z nr-axSpA kwalifikujących się do leczenia etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego odpowiada liczbie chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi (zakwalifikowane, w toku, nawrót) w ramach programu lekowego B.36 dla ZZSK, którą wyznaczono na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych<sup>4</sup> z założeniem wzrostowego trendu liniowego ze względu na najlepsze dopasowanie - uwzględniono dane od kwietnia 2012 roku (sposób raportowania w dostępnych protokołach za okres styczeń 2011-marzec 2012 uniemożliwił wykorzystanie tych danych w analizie). [REDACTED]
- [REDACTED]
- Przyjęto konserwatywne założenie, zgodnie z którym włączanie nowych chorych do programu leczenia nr-axSpA oraz wykluczanie chorych z programu z powodu braku skuteczności ma podobną dynamikę, jak w przypadku programu B.36 dla ZZSK - określono liczbę chorych aktualnie leczonych niezależnie od momentu rozpoczęcia terapii i jej kontynuacji, tym samym parametr skuteczności determinujący dalszą terapię jest zaincorporowany w oszacowanej liczebności aktywnie leczonych chorych (uwzględniającej chorych przerywających leczenie i rozpoczynających terapię).
- Zużycie zasobów oszacowano na podstawie badania ankietowego przeprowadzonego w listopadzie 2014 r. wśród 3 polskich ekspertów w dziedzinie reumatologii – patrz analiza ekonomiczna.<sup>14</sup>
- W analizie uwzględniono koszty zakupu substancji czynnych, podania leków, kwalifikacji do leczenia i standardowego monitorowania chorego.
- Ze względu na bazowanie na liczbie aktywnych terapii koszt kwalifikacji do leczenia naliczono każdemu choremu w każdym roku analizy.
- Dawkowanie etanerceptu przyjęto zgodnie z badaniem Dougados 2014<sup>10</sup> oraz ChPL<sup>3</sup> i WHO<sup>13</sup>, natomiast leków objawowych – zgodnie z opinią ekspertów (patrz analiza ekonomiczna<sup>14</sup>).



Zestawienie wartości, na podstawie których dokonano oszacowań oraz kalkulacji przedstawiono w tabeli poniżej.

**Tab. 22. Zestawienie wartości, na podstawie których dokonano oszacowań oraz kalkulacji.**

Parametr	Wartość	Źródło
<b>Dawkowanie leków</b>		
ETN	50 mg/tydz.	Dougados 2014 <sup>10</sup> , ChPL <sup>3</sup> , WHO <sup>13</sup>
CON	w zależności od leku	opinia ekspertów (analiza ekonomiczna <sup>14</sup> )
<b>Cena hurtowa brutto etanerceptu, PLN/opakowanie</b>		
██████████	██████████	██████████
██████████	██████████	██████████
<b>Koszt rocznej terapii, perspektywa NFZ/wspólna, PLN/rok</b>		
████	██████████	██████████
CON	206,86/418,52	Obwieszczenie MZ <sup>1</sup>
<b>Koszt podania leków, PLN/rok</b>		
ETN	1 248,00	Zarządzenie Nr 57/2014/DGL
CON	0,00	POZ, badanie ankietowe
<b>Koszt kwalifikacji do leczenia, PLN</b>		
ETN	325,00	Zarządzenie Nr 57/2014/DGL
CON	0,00	badanie ankietowe
<b>Koszt standardowego monitorowania chorego, PLN/rok</b>		
ETN	748,80	Zarządzenie Nr 57/2014/DGL
CON	262,33	Zarządzenie Nr 82/2013/DSOZ

CON – leczenie objawowe; ETN – etanercept.

### 3.6 Oszacowania aktualnych rocznych wydatków NFZ

Zgodnie z § 6. Ust. 1 pkt 3 Rozporządzenia MZ analiza wpływu na budżet powinna zawierać oszacowania aktualnych rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje.<sup>2</sup>

Liczebność populacji docelowej, wskazanej we wniosku w 2015 roku oszacowano na ██████████ **pacjentów.**

Analizowano substancje czynne aktualnie stosowane w leczeniu nr-axSpA, które są dostępne i refundowane ze środków publicznych w Polsce, tj. leczenie objawowe (zgodnie z założeniami scenariusza istniejącego). W analizie uwzględniono koszty zakupu substancji czynnych oraz monitorowania chorego. ██████████

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku oszacowano na [REDAKTOWANE]

Etanercept aktualnie nie jest finansowany przez NFZ w leczeniu nr-axSpA, w związku z czym wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku stanowiące refundację ceny wnioskowanej technologii wynoszą 0 PLN.

Aktualne roczne wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przedstawiono poniżej.

**Tab. 23. Aktualne roczne wydatki ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (leczenie objawowe).**

Wariant	2015 rok
<b>POPULACJA, N</b>	[REDAKTOWANE]
koszty zakupu leków, PLN	[REDAKTOWANE]
koszty monitorowania chorego, PLN	[REDAKTOWANE]
<b>KOSZTY, PLN</b>	[REDAKTOWANE]

### 3.7 Wyniki [REDAKTOWANE]

Poniżej przedstawiono całkowite obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania ze środków publicznych etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA w 2 kolejnych latach z perspektywy płatnika publicznego, czyli Narodowego Funduszu Zdrowia oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta [REDAKTOWANE]

Niepewne parametry dotyczące docelowej liczby chorych w kolejnych latach testowano w ramach scenariusza minimalnego i maksymalnego (patrz rozdz. 3.7.1.1). Pozostałe parametry testowano w ramach analizy wrażliwości (patrz rozdz. 3.7.1.2).

#### 3.7.1 Analiza podstawowa

W analizie podstawowej liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDAKTOWANE] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [REDAKTOWANE] z perspektywy NFZ oraz [REDAKTOWANE] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDAKTOWANE] z per-

spektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [REDACTED]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.

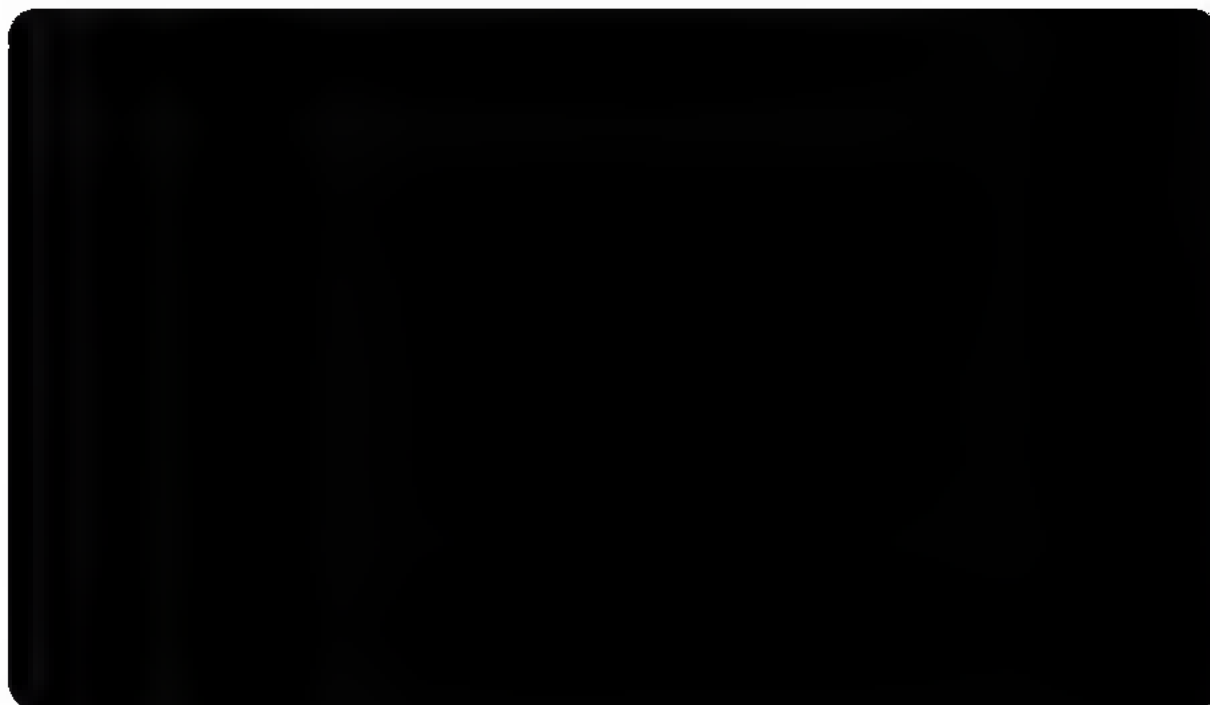
**Tab. 24. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] – scenariusz podstawowy.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

**Ryc. 7. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – scenariusz podstawowy.**



**Ryc. 8. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – scenariusz podstawowy.**



### 3.7.1.1 Analiza scenariusza minimalnego i maksymalnego

#### Scenariusz minimalny

W scenariuszu minimalnym liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [REDACTED]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe w scenariuszu minimalnym są niższe o [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.

**Tab. 25. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] – scenariusz minimalny.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]



Ryc. 9. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – scenariusz minimalny.



Ryc. 10. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – scenariusz minimalny.



### Scenariusz maksymalny

W scenariuszu maksymalnym liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [redacted] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [redacted] z perspektywy NFZ oraz [redacted] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [redacted] z perspektywy NFZ oraz [redacted] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [redacted]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [redacted] z perspektywy NFZ oraz [redacted] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe w scenariuszu maksymalnym są wyższe o [redacted] odpowiednio w I i II roku analizy w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.

**Tab. 26. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [redacted] - scenariusz maksymalny.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
koszt zakupu ETN	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
leczenie objawowe	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
koszt zakupu ETN	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
leczenie objawowe	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[redacted]	[redacted]	[redacted]	[redacted]

Ryc. 11. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy ██████████  
██████████ z perspektywy NFZ – scenariusz maksymalny.



Ryc. 12. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy ██████████  
██████████ z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – scenariusz maksymalny.





**Tab. 27. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.**

Scenariusz	I rok, PLN	Zmiana vs BC	II rok, PLN	Zmiana vs BC
BC		1		1
SA 1A				
SA 2A				
SA 2B				
SA 3A				
SA 3B				

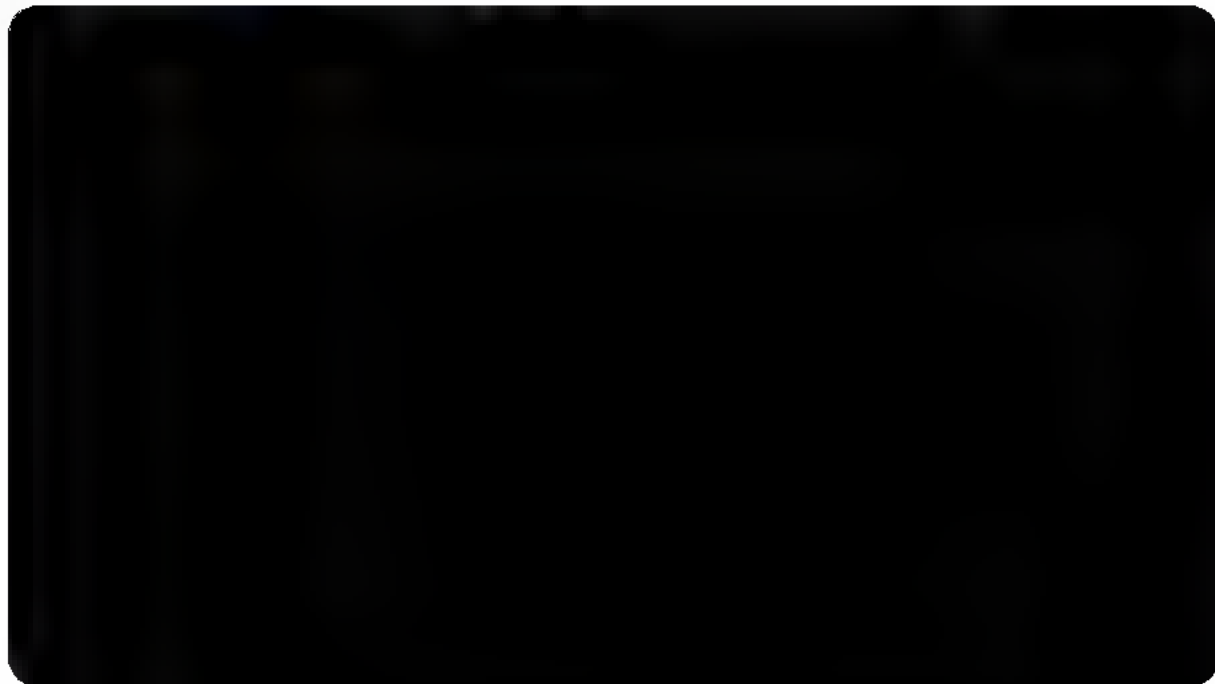
**Ryc. 13. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.**



**Tab. 28. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.**

Scenariusz	I rok, PLN	Zmiana vs BC	II rok, PLN	Zmiana vs BC
BC		1		1
SA 1A				
SA 2A				
SA 2B				
SA 3A				
SA 3B				

Ryc. 14. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.



### 3.8 Wyniki [REDACTED]

Poniżej przedstawiono całkowite obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania ze środków publicznych etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA w 2 kolejnych latach z perspektywy NFZ oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta [REDACTED]

Niepewne parametry dotyczące docelowej liczby chorych w kolejnych latach testowano w ramach scenariusza minimalnego i maksymalnego (patrz rozdz. 3.8.1.1). Pozostałe parametry testowano w ramach analizy wrażliwości (patrz rozdz. 3.8.1.2).

#### 3.8.1 Analiza podstawowa

W analizie podstawowej liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [REDACTED]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.

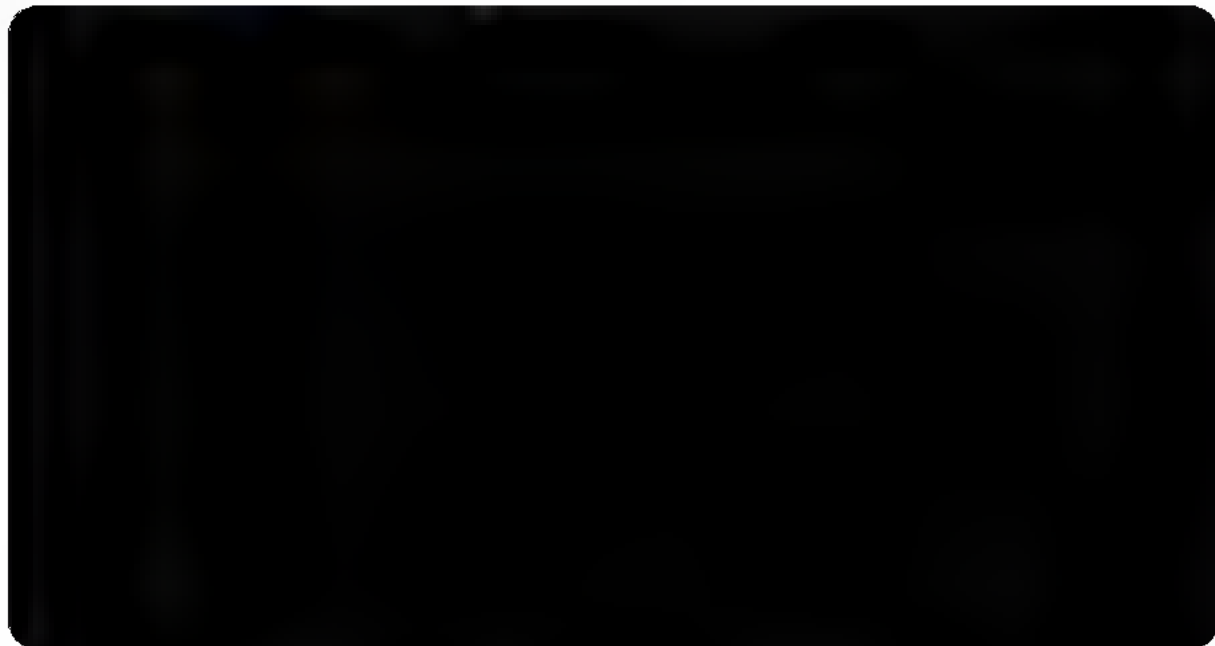
**Tab. 29. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz podstawowy.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

**Ryc. 15. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz podstawowy.**



Ryc. 16. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz podstawowy.



### 3.8.1.1 Analiza scenariusza minimalnego i maksymalnego

#### *Scenariusz minimalny*

W scenariuszu minimalnym liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED]  
[REDACTED] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [REDACTED]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe w scenariuszu minimalnym są niższe o [REDACTED]  
odpowiednio w I i II roku analizy w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.



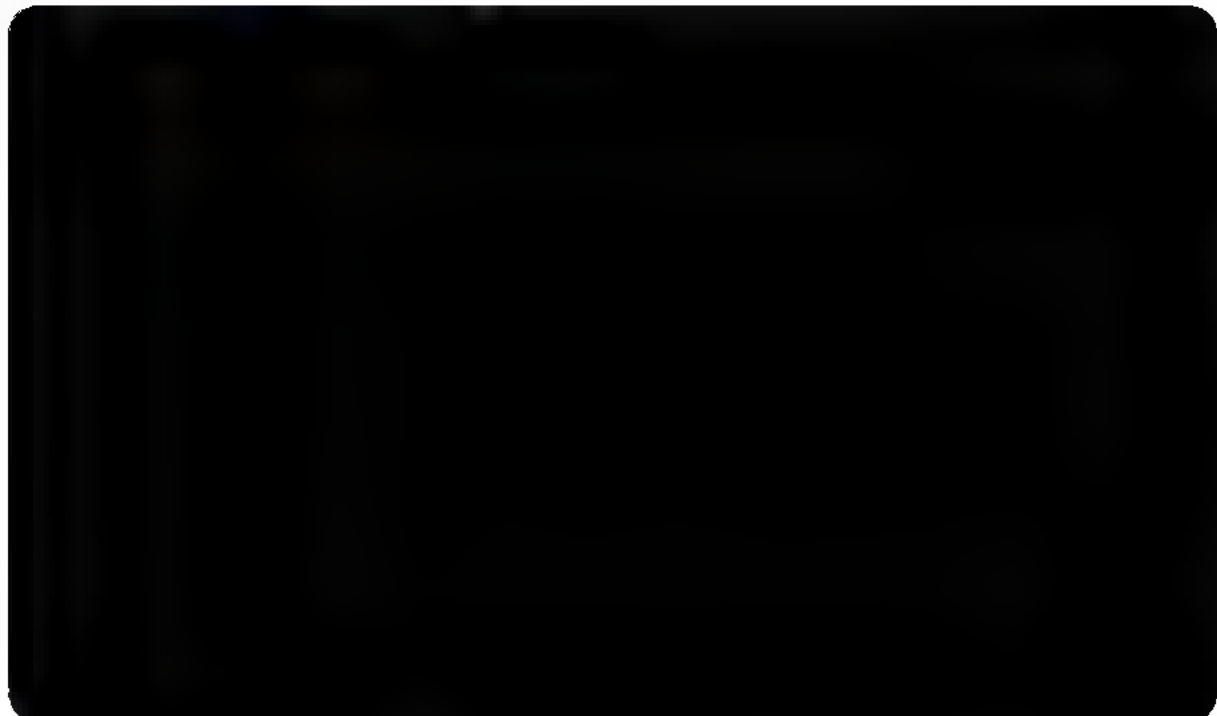
**Tab. 30. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz minimalny.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

**Ryc. 17. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz minimalny.**



Ryc. 18. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz minimalny.



#### *Scenariusz maksymalny*

W scenariuszu maksymalnym liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED] pacjentów odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu istniejącym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem leczenia objawowego w nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

W scenariuszu nowym obciążenia budżetowe związane ze stosowaniem etanerceptu i leczenia objawowego w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy. Koszt zakupu etanerceptu (substancji czynnej) wyniesie odpowiednio [REDACTED]

Dodatkowe obciążenia budżetowe związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA w ramach dedykowanego programu lekowego wyniosą [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta odpowiednio w I i II roku analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe w scenariuszu minimalnym są wyższe o [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zestawienie wyników końcowych dla 2 kolejnych lat przedstawiono poniżej.

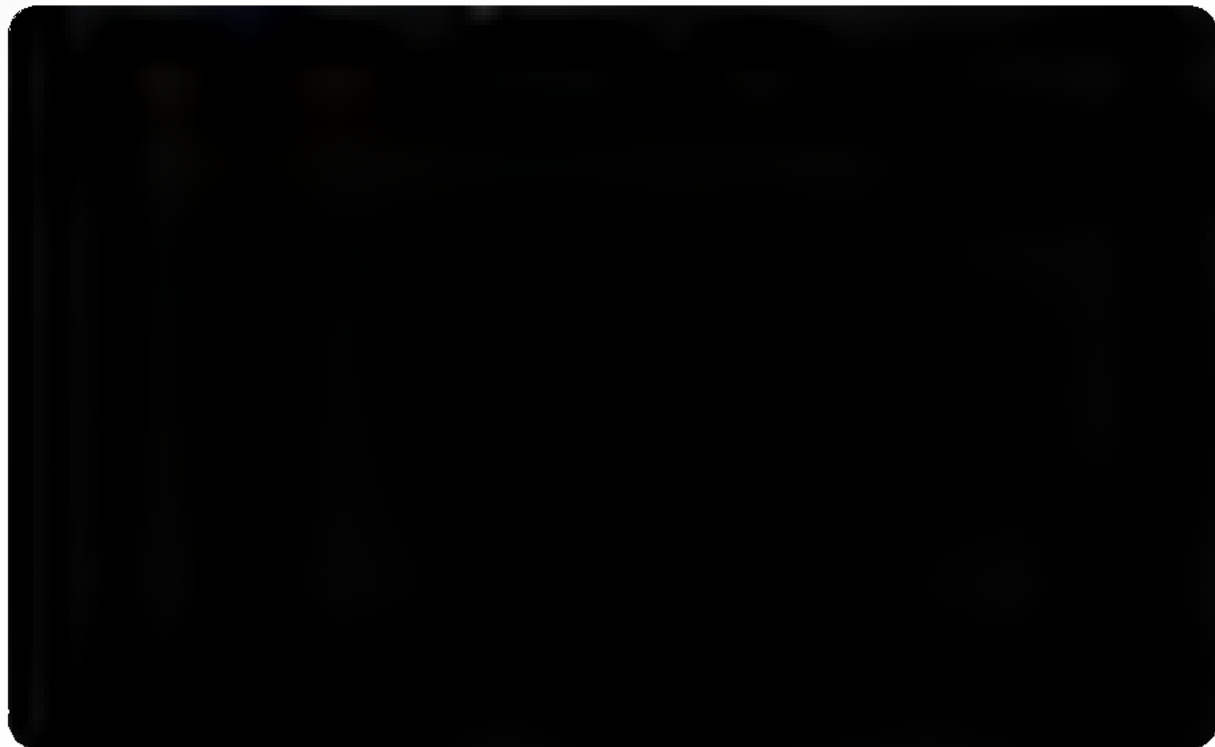
**Tab. 31. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz maksymalny.**

Koszty, PLN	NFZ		NFZ + pacjent	
	I rok	II rok	I rok	II rok
<b>SCENARIUSZ ISTNIEJĄCY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>SCENARIUSZ NOWY, PLN</b>				
etanercept	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
koszt zakupu ETN	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
leczenie objawowe	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>ŁĄCZNIE, PLN</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>DODATKOWE WYDATKI</b>	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

**Ryc. 19. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz maksymalny.**



Ryc. 20. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz maksymalny.



### 3.8.1.2 Analiza wrażliwości

W jednokierunkowych analizach wrażliwości, poza parametrem testowanym zmienionym w ustalonym zakresie, pozostałe parametry pozostały na poziomie wartości przyjętych w scenariuszu podstawowym analizy.

[REDACTED]

[REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego.

[REDACTED] spowodowało odpowiednio zmniejszenie i zwiększenie dodatkowych obciążeń budżetowych [REDACTED] [REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zmniejszenie i zwiększenie kosztów leczenia objawowego (zakupu leków i standardowego monitorowania chorego; przyjęto zerowy koszt podania leków i kwalifikacji do leczenia) oszacowanych na podstawie wyników badania ankietowego o [REDACTED] spowodowało odpowiednio zwiększenie i zmniejszenie dodatkowych obciążeń budżetowych o [REDACTED] z perspektywy NFZ oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta w porównaniu do scenariusza podstawowego.

**Tab. 32. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.**

Scenariusz	I rok, PLN	Zmiana vs BC	II rok, PLN	Zmiana vs BC
BC		1		1
SA 1A				
SA 2A				
SA 2B				
SA 3A				
SA 3B				

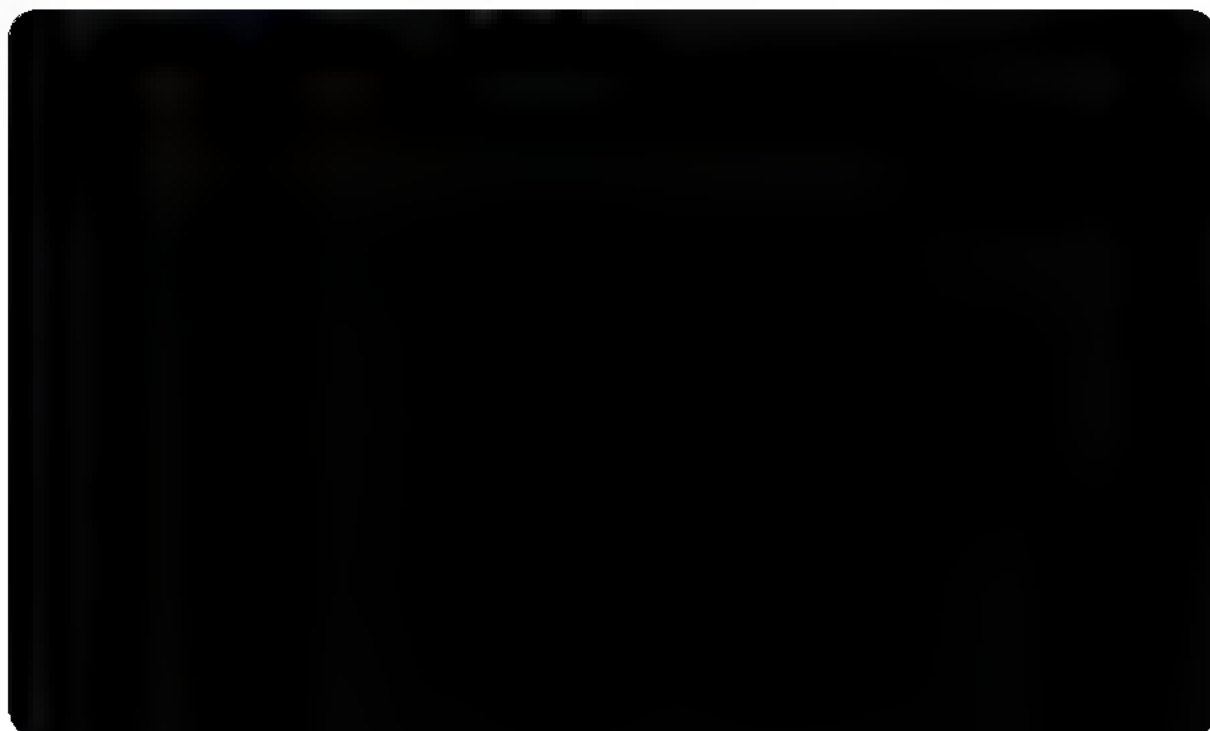
**Ryc. 21. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.**



**Tab. 33. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.**

Scenariusz	I rok, PLN	Zmiana vs BC	II rok, PLN	Zmiana vs BC
BC		1		1
SA 1A				
SA 2A				
SA 2B				
SA 3A				
SA 3B				

Ryc. 22. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED]  
[REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.









## 6 Aspekty etyczne i społeczne

Wnioskowane jest finansowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Nie zidentyfikowano dziedziny życia społecznego, która mogłaby ponieść straty, ani sytuacji budzących dylematy moralne związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w analizowanym wskazaniu.

Jak każde leczenie, również terapia etanerceptem może nie być zaakceptowana przez poszczególnych chorych. Zastosowanie terapii powinno być poprzedzone szczegółową informacją dla pacjenta o potencjalnych korzyściach i ryzyku jej stosowania, w tym specyficznych działaniach niepożądanych i ostrzeżeniach zawartych w Charakterystyce Produktu Leczniczego.<sup>3</sup>

Nie zidentyfikowano żadnych obowiązujących regulacji prawnych, które wymagałyby korekty.

Poprzez wprowadzenie finansowania etanerceptu w analizowanym wskazaniu spodziewany jest wzrost poziomu satysfakcji pacjentów, wynikający ze zwiększonego dostępu do nowoczesnej i rekomendowanej przez autorów wytycznych klinicznych i agencji oceny technologii medycznych opcji terapeutycznej oraz możliwości wyboru terapii, która będzie stanowić alternatywę dla aktualnie refundowanych, mniej skutecznych leków stosowanych objawowo.

Proponowana technologia jest odpowiedzią na niezaspokojone potrzeby dorosłych chorych z nr-axSpA, którzy obecnie nie mają dostępu do innej, co najmniej równie skutecznej opcji terapeutycznej.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

W aneksie przedstawiono zestawienie możliwego wpływu wprowadzenia refundacji etanerceptu w leczeniu nr-axSpA na kwestie etyczne i społeczne wskazane w Wytycznych oceny technologii medycznych (HTA) Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM).<sup>9</sup>

## 7 Dyskusja i ograniczenia

W niniejszej analizie przeprowadzono ocenę obciążeń budżetowych związanych z finansowaniem ze środków publicznych etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDACTED]

Analizę przeprowadzono z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, tj. Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ) oraz perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta (współpłacenie za leczenie objawowe) w horyzoncie 2 lat. Przeprowadzenie oszacowań w dłuższym horyzoncie, ze względu na obowiązywanie decyzji na 2 lata, procesy negocjacyjne z podmiotami odpowiedzialnymi, spodziewane wprowadzanie finansowania nowych leków, w tym adalimumabu i certolizumabu pegol w analizowanym wskazaniu, nie podniesie jakości analizy.

Wśród ograniczeń analizy zidentyfikowano brak jednoznacznych danych dotyczących liczby chorych z nr-axSpA bezpośrednio kwalifikujących się do programu leczenia etanerceptem w Polsce. Mając na uwadze konieczność dążenia w oszacowaniach do wyniku najbardziej zbliżonego do stanu rzeczywistego przyjęto, że najbardziej wiarygodnych danych o potencjalnym zużyciu leku w kolejnych latach dostarczą protokoły z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.<sup>4</sup> Ze względu na zbliżoną chorobowość (badania Strand 2013<sup>6</sup> i Poddubnyy 2012<sup>7</sup>) oraz podobne kryteria włączenia do programu leczenia nr-axSpA i ZZSK przyjęto, że liczba pacjentów z nr-axSpA kwalifikujących się do leczenia etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego odpowiada liczbie chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi (zakwalifikowane, w toku, nawrót) w ramach programu lekowego B.36 dla ZZSK, którą wyznaczono z założeniem wzrostowego trendu liniowego ze względu na najlepsze dopasowanie. W analizie uwzględniono dane od kwietnia 2012 roku – sposób raportowania w dostępnych protokołach za okres styczeń 2011-marzec 2012 uniemożliwił wykorzystanie tych danych w analizie. [REDACTED]

[REDAKTOWANE]

Zgodnie z treścią [REDAKTOWANE], jak również programu B.36 dla ZZSK, wskazaniem do kontynuacji leczenia inhibitorami TNF- $\alpha$  jest m.in. uzyskanie adekwatnej odpowiedzi na zastosowany inhibitor TNF alfa, definiowanej jako zmniejszenie wartości BASDAI przynajmniej o 50% w stosunku do wartości sprzed leczenia po 12 tygodniach terapii. Adekwatną odpowiedź po 12 tygodniach terapii etanerceptem uzyskało 44% pacjentów z nr-axSpA zgodnie z wynikami badania Dougados 2014<sup>10</sup> oraz 57%-60% pacjentów z ZZSK na podstawie badań Brandt 2003<sup>11</sup> i van der Heijde 2006<sup>12</sup>, w związku z czym przyjęto konserwatywne założenie, zgodnie z którym włączanie nowych chorych do programu leczenia nr-axSpA oraz wykluczanie chorych z programu z powodu braku skuteczności ma podobną dynamikę, jak w przypadku programu B.36 dla ZZSK.

Bazując na liczebności populacji oszacowanej na podstawie protokołów, określono liczbę chorych aktualnie leczonych niezależnie od momentu rozpoczęcia terapii i jej kontynuacji. W związku z tym, parametr skuteczności determinujący dalszą terapię jest zaincorporowany w oszacowanej liczebności aktywnie leczonych chorych (uwzględniającej chorych przerywających leczenie i rozpoczynających terapię).

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] W badaniu Nell-Duxneuner 2012<sup>17</sup> wykazano, że etanercept stosowany jest średnio przez 1-2 lata. Czas trwania terapii etanerceptem w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA można zatem przyjąć na ok. 1 rok. W związku z powyższym oraz bazując na liczbie aktywnych terapii (niezależnie od momentu rozpoczęcia i przerwania terapii) koszt kwalifikacji do leczenia naliczono każdemu choremu w każdym roku analizy.

W scenariuszu istniejącym uwzględniono wyłącznie stosowanie leczenia objawowego. W scenariuszu nowym przyjęto, że chorzy będą stosowali etanercept w ramach dedykowanego programu lekowego i leczenie objawowe. W analizie nie uwzględniono adalimumabu i certolizumabu pegol ze względu na brak finansowania tych substancji czynnych w leczeniu nr-axSpA oraz wysoki koszt zakupu leków dla chorego.

Analizę wpływu na budżet przeprowadzono z uwzględnieniem kosztów nabycia i podania substancji czynnych, jak również kosztów związanych z kwalifikacją do leczenia i standardowym monitorowaniem chorego.

W analizie nie zostały uwzględnione koszty pośrednie, ze względu na brak wiarygodnych danych dotyczących kosztów utraconej produktywności związanych bezpośrednio

z nr-axSpA i jej powikłaniami. Dodatkowo, brak spójnej metodyki dotyczącej szacowania tej kategorii kosztów znacznie ogranicza możliwość wiarygodnego wnioskowania. W analizie nie uwzględniono kosztów pośrednich, co oznacza, że całkowite koszty leczenia chorych z nr-axSpA mogą być niedoszacowane.

Przyjęto upraszczające założenie o pełnym przestrzeganiu zaleceń lekarskich i braku możliwości zmiany lub przerwania terapii w analizowanym horyzoncie czasowym.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Parametry kosztowe oszacowano specyficznie dla polskiego systemu ochrony zdrowia w oparciu o badanie ankietowe przeprowadzone w listopadzie 2014 r. wśród 3 polskich ekspertów w dziedzinie reumatologii.

Dawkę dobową etanerceptu przyjęto w oparciu o badanie kliniczne Dougados 2014,<sup>10</sup> co jest zgodne z dawkowaniem przedstawionym w ChPL<sup>3</sup> oraz DDD wg WHO.<sup>13</sup> Dawki dobowe leków stosowanych w ramach leczenia objawowego przyjęto na podstawie wyników badania ankietowego.<sup>14</sup>

Niniejsza analiza wpływu na budżet wykazała, że wprowadzenie finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-ax Spa związane jest z dodatkowymi obciążeniami budżetowymi niezależnie od przedstawionego wariantu analizy, co wynika z braku dostępu do leczenia biologicznego w tej populacji chorych.

W analizie podstawowej [REDACTED] przewidywane dodatkowe obciążenia budżetowe, które poniesie NFZ w związku z wprowadzeniem finansowania leku w analizowanym wskazaniu wyniosą [REDACTED] [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.

Dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta [REDACTED] są nieznacznie niższe w porównaniu do perspektywy NFZ z powodu uwzględnienia wydatków pacjenta na leczenie objawowe przy jednoczesnym braku dodatkowych wydatków dla pacjenta na etanercept.

Niepewne parametry dotyczące docelowej liczby chorych w kolejnych latach testowano w ramach scenariusza minimalnego i maksymalnego. Zmiana liczebności populacji docelowej w scenariuszu minimalnym i maksymalnym spowodowała odpowiednio zmniejszenie i zwiększenie dodatkowych obciążeń budżetowych o [REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego odpowiednio w I i II roku analizy.

Należy podkreślić, że oszacowana liczebność populacji docelowej w II roku analizy odpowiada populacji ustabilizowanej, podczas gdy osiągnięcie stabilizacji może zająć więcej niż dwa lata, stąd oszacowane obciążenia budżetowe szczególnie w 2017 r. należy traktować, jako wariant konserwatywny i bezpieczny z perspektywy płatnika publicznego.

W celu określenia wrażliwości wyników w odniesieniu do niepewności parametrów, takich jak [REDACTED] i koszty leczenia objawowego oszacowane na podstawie zużycia zasobów określonego na drodze badania ankietowego przeprowadzono jednokierunkowe analizy wrażliwości.

[REDACTED]  
[REDACTED]  
[REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego.

[REDACTED] spowodowało odpowiednio zmniejszenie i zwiększenie dodatkowych obciążeń budżetowych [REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Zmniejszenie i zwiększenie kosztów leczenia objawowego (zakupu leków i standardowego monitorowania chorego; przyjęto zerowy koszt podania leków i kwalifikacji do leczenia) oszacowanych na podstawie wyników badania ankietowego o [REDACTED] spowodowało odpowiednio zwiększenie i zmniejszenie dodatkowych obciążeń budżetowych o [REDACTED] w porównaniu do scenariusza podstawowego.

Pomimo niepewności oszacowań, wyniki wszystkich wariantów są zgodne i wskazują na dodatkowe obciążenia budżetowe w przypadku wprowadzenia finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA.

Wprowadzenie finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA będzie stanowiło odpowiedź na niezaspokojone potrzeby chorych, którzy obecnie nie mają dostępu do innej, co najmniej równie skutecznej opcji terapeutycznej. Zwiększony dostęp do leku spowoduje wzrost poziomu satysfakcji pacjentów z nr-axSpA. Dostęp do terapii etanerceptem będzie stanowić istotną i oczekiwaną przez chorych z nr-axSpA alternatywę dla aktualnie dostępnego leczenia objawowego.

## 8 Podsumowanie i wnioski

W niniejszej analizie przedstawiono ocenę wpływu na system ochrony zdrowia, w tym budżet Narodowego Funduszu Zdrowia, wprowadzenia finansowania etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDACTED]

Poniżej przedstawiono podsumowanie wyników analizy z perspektywy NFZ [REDACTED]

W analizie podstawowej liczebność docelowej populacji chorych oszacowano na [REDACTED] pacjentów (tj. rocznych terapii) odpowiednio w I i II roku analizy.

- Prognozowane obciążenia budżetowe w scenariuszu istniejącym (leczenie objawowe) oszacowano na [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.
- Prognozowane obciążenia budżetowe w scenariuszu nowym (etanercept i leczenie objawowe) oszacowano na [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.
  - Koszt zakupu etanerceptu wyniesie [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy [REDACTED]
- Prognozowane dodatkowe wydatki związane z wprowadzeniem finansowania etanerceptu w leczeniu nr-axSpA wyniosą [REDACTED] odpowiednio w I i II roku analizy.

### Wnioski

Finansowanie etanerceptu w ramach dedykowanego programu lekowego w leczeniu nr-axSpA jest związane z dodatkowymi obciążeniami dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia.

Dodatkowe obciążenia budżetowe z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta są nieznacznie niższe w porównaniu do perspektywy NFZ. Wynika to z uwzględnienia wydatków pacjenta na leczenie objawowe przy jednoczesnym braku dodatkowych wydatków dla pacjenta na terapię etanerceptem.

Należy podkreślić, że oszacowana liczebność populacji docelowej odpowiada populacji ustabilizowanej, podczas gdy osiągnięcie stabilizacji może zająć więcej niż dwa lata. Stąd, oszacowane obciążenia budżetowe szczególnie w 2017 r. należy traktować, jako wariant bardzo konserwatywny i bezpieczny z perspektywy płatnika publicznego.

Dodatkowe wydatki wiążą się z zapewnieniem dostępu do nowoczesnej terapii o udowodnionej skuteczności, rekomendowanej przez autorów wytycznych klinicznych i agencje oceny technologii medycznych. Dostęp do terapii etanerceptem spowoduje opóźnienie progresji nr-axSpA do ZZSK.

Dostęp do terapii etanerceptem będzie stanowić istotną i oczekiwaną przez chorych alternatywę dla aktualnie dostępnego leczenia objawowego.

## 9 Aneks

### 9.1 Aspekty etyczne

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?

Dostęp do technologii lekowej będzie ograniczony do dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]. W tym kontekście za faworyzowane można uznać grupy chorych, u których leczenie NLPZ nie było skuteczne i jest trudne z klinicznego punktu widzenia.

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

Tak - w ramach populacji docelowej.

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

Dostęp do technologii lekowej ograniczony będzie do dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób.

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

Technologia nie dotyczy grup społecznie upośledzonych.

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

Proponowana technologia jest skierowana do dorosłych chorych z ciężką postacią osiowej spondyloartropatii bez zmian radiologicznych z obiektywnymi objawami przedmiotowymi zapalenia, [REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE] Dostępne jest jedynie leczenie objawowe.

CZY POZYTYWNA DECYZJA MOŻE POWODOWAĆ PROBLEMY SPOŁECZNE?

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

Spodziewany jest wzrost poziomu satysfakcji pacjentów przez ułatwiony dostęp (ze względów finansowych) do nowoczesnej i skutecznej opcji terapeutycznej.

Czy może grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych?

Mało prawdopodobne. Analizowana terapia, podobnie jak każda technologia medyczna, może



być nieakceptowana przez poszczególnych chorych.

Czy może powodować lub zmieniać stygmatyzację?

Nie.

Czy może wywoływać lęk?

Mało prawdopodobne.

Czy może powodować dylematy moralne?

Mało prawdopodobne.

Czy może stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne?

Nie.

**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 stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach?

Nie zidentyfikowano regulacji prawnych wymagających zmian. [REDAKTOWANO]

Czy oddziałuje na prawa człowieka lub pacjenta?

Tak. Zgodnie z Art. 6.1. na podstawie Ustawy z dnia 6 listopada 2008 r. o prawach pacjenta i Rzeczniku Praw Pacjenta, „pacjent ma prawo do świadczeń zdrowotnych odpowiadających wymaganiom aktualnej wiedzy medycznej.”

**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.

## 9.2 Zgodność z minimalnymi wymaganiami MZ<sup>2</sup>

Nr	Analiza wpływu na budżet	Rozdział	Komentarz
1	Czy zawiera oszacowanie rocznej liczebności populacji: <ul style="list-style-type: none"> <li>obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana,</li> <li>docelowej, wskazanej we wniosku,</li> <li>w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana?</li> </ul>	3.1.1 3.1.2 3.1.3	tak tak tak
2	Czy zawiera oszacowanie rocznej liczebności populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, wydania decyzji o objęciu refundacją?	3.1.4	tak
3	Czy zawiera oszacowanie aktualnych rocznych wydatków środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o ile występuje?	3.6	tak; brak refundacji wnioskowanej technologii
4	Czy zawiera ilościową prognozę rocznych wydatków środków publicznych, 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?	3.7, 3.8	tak - sc. istniejący w kolejnych latach
5	Czy zawiera ilościową prognozę rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, 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?	3.7, 3.8	tak - sc. nowy w kolejnych latach
6	Czy zawiera oszacowanie dodatkowych wydatków środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, stanowiących różnicę pomiędzy prognozami, o których mowa w pkt. 24 i 25, z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii?	3.7, 3.8	tak - różnica kosztów pomiędzy scenariuszami nowym i istniejącym
7	Czy zawiera minimalny i maksymalny wariant oszacowania, o którym mowa w pkt. 26?	3.7.1.1, 3.8.1.1	tak
8	Czy zawiera zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań?	3.1, 3.4, 3.5.7	tak
9	Czy zawiera wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań, w szczególności założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu?	2, 3.5.7	tak
10	Czy zawiera dokument elektroniczny, umożliwiający powtó-	-	dołączony

Nr	Analiza wpływu na budżet	Rozdział	Komentarz
	rzenie wszystkich kalkulacji, w wyniku których uzyskano oszacowania oraz prognozy?		
11	Czy oszacowania i prognozy dokonywane są w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet (nie krótszy niż 2 lata)?	3.3	tak
12	Czy oszacowania oraz prognozy dokonano na podstawie oszacowań rocznej liczebności populacji?	3.1	tak
13	Czy jeżeli nie jest możliwe przedstawienie wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji analiza zawiera dodatkowy wariant, w którym oszacowania te uzyskano w oparciu o inne dane?	-	nie dotyczy
14	Jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują instrumenty dzielenia ryzyka, to czy oszacowania i prognozy (pkt. 21-27), zostały przedstawione w następujących wariantach:		
	z uwzględnieniem proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka,	■	■
	bez uwzględnienia proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka?	■	■
15	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej, analiza zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań ustawowych?	-	nie dotyczy
16	Czy jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikacje do wspólnej, istniejącej grupy limitowej, analiza wpływu na budżet zawiera wskazanie dowodów spełnienia wymagań ustawowych?	2	tak
	Ogólne adnotacje		
17	Czy analizy: kliniczna, ekonomiczna, wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i racjonalizacyjna zawierają:		
	dane bibliograficzne wszystkich wykorzystanych publikacji, z zachowaniem stopnia szczegółowości, umożliwiającego jednoznaczny identyfikację każdej wykorzystanej publikacji,	Piśmiennictwo	tak
	wskazanie innych źródeł informacji zawartych w analizach, w szczególności aktów prawnych oraz danych osobowych autorów niepublikowanych badań, analiz, ekspertyz i opinii?	W tekście	tak

## Spis tabel

Tab. 1. Kontekst analizy wpływu na system ochrony zdrowia wg schematu PICO.....	12
Tab. 2. Ceny etanerceptu zgodnie z Obwieszczeniem MZ na listopad-grudzień 2014 r.....	14
Tab. 3. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów leczenia RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS oraz łuszczycy plackowatej.....	16
Tab. 4. Prognozowana liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów lekowych dla RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS oraz łuszczycy plackowatej w kolejnych miesiącach z uwzględnieniem wzrostowego trendu liniowego.....	19
Tab. 5. Roczna liczebność populacji obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.....	20
Tab. 6. Liczba chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.....	22
Tab. 7. Prognozowana liczba chorych w kolejnych miesiącach na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych z uwzględnieniem wzrostowego trendu liniowego.....	23
Tab. 8. Prognozowana liczba chorych w kolejnych latach analizy na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.....	24
Tab. 9. Roczna liczebność populacji docelowej, wskazanej we wniosku.....	25
Tab. 10. Roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana.....	27
Tab. 11. Roczna liczebność populacji, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją analizowanej interwencji.....	27
Tab. 12. Populacja – podsumowanie oszacowań.....	28
Tab. 13. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu istniejącym.....	30
Tab. 14. Liczba chorych stosujących etanercept w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.....	31
Tab. 15. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.....	31
Tab. 16. Koszt zakupu etaneceptu.*.....	35
Tab. 17. Roczny koszt leków* i zabiegów stosowanych w ramach leczenia objawowego.....	37
Tab. 18. Koszt podania leków.....	39
Tab. 19. Koszt kwalifikacji do leczenia.....	40
Tab. 20. Koszt standardowego monitorowania chorego.....	41
Tab. 21. Analiza wrażliwości – założenia scenariuszy.....	43
Tab. 22. Zestawienie wartości, na podstawie których dokonano oszacowań oraz kalkulacji.....	46
Tab. 23. Aktualne roczne wydatki ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku (leczenie objawowe).....	47
Tab. 24. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy ■ ■ – scenariusz podstawowy.....	48
Tab. 25. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy ■ ■ – scenariusz minimalny.....	50

Tab. 26. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz maksymalny.....	52
Tab. 27. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.....	55
Tab. 28. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.....	55
Tab. 29. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz podstawowy.....	57
Tab. 30. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz minimalny.....	59
Tab. 31. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] - scenariusz maksymalny.....	61
Tab. 32. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.....	63
Tab. 33. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.....	63

## Spis rycin

Ryc. 1. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programów leczenia RZS, MIZS, ZZSK, ŁZS na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.....	18
Ryc. 2. Liczba chorych aktywnie leczonych lekami biologicznymi w ramach programu leczenia łuszczycy plackowatej na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej.....	18
Ryc. 3. Liczba chorych z ZZSK aktywnie leczonych lekami biologicznymi na podstawie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych.....	23
Ryc. 4. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu istniejącym.....	30
Ryc. 5. Liczba chorych stosujących etanercept w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.....	31
Ryc. 6. Liczba chorych stosujących leczenie objawowe w kolejnych latach analizy w scenariuszu nowym.....	32
Ryc. 7. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz podstawowy.....	49
Ryc. 8. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz podstawowy.....	49
Ryc. 9. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz minimalny.....	51
Ryc. 10. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz minimalny.....	51
Ryc. 11. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz maksymalny.....	53
Ryc. 12. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz maksymalny.....	53
Ryc. 13. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - analiza wrażliwości.....	55
Ryc. 14. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - analiza wrażliwości.....	56
Ryc. 15. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz podstawowy.....	57
Ryc. 16. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz podstawowy.....	58
Ryc. 17. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz minimalny.....	59
Ryc. 18. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz minimalny.....	60
Ryc. 19. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy NFZ - scenariusz maksymalny.....	61
Ryc. 20. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta - scenariusz maksymalny.....	62

Ryc. 21. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] [REDACTED] z perspektywy NFZ – analiza wrażliwości.....	63
Ryc. 22. Prognozowane dodatkowe obciążenia budżetowe w I i II roku analizy [REDACTED] [REDACTED] z perspektywy wspólnej NFZ i pacjenta – analiza wrażliwości.....	64

## Piśmiennictwo

---

- <sup>1</sup> Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 22 października 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na dzień 1 listopada 2014 r.
- <sup>2</sup> Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.  
<http://www2.mz.gov.pl/wwwmz/index?mr=b4&ms=311&ml=pl&mi=311&mx=0&mt=&my=89&ma=019625> [dostęp 03.12.2014 r.].
- <sup>3</sup> European Medicines Agency (EMA). Charakterystyka Produktu Leczniczego: Enbrel®.  
[http://www.ema.europa.eu/docs/pl\\_PL/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/000262/WC500027361.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/pl_PL/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/000262/WC500027361.pdf) [dostęp 03.12.2014 r.].
- <sup>4</sup> Narodowy Fundusz Zdrowia. Protokoły z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Biologicznego w Chorobach Reumatycznych (od początku 2011 r.).  
<http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=18&artnr=4477> [dostęp 17.12.2014 r.].
- <sup>5</sup> Narodowy Fundusz Zdrowia. Protokoły z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia Biologicznego w Łuszczycy Plackowatej.  
<http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=18&artnr=5445> [dostęp 17.12.2014 r.].
- <sup>6</sup> Strand V, Rao SA, Shillington AC, Cifaldi MA, McGuire M, Ruderman EM. Prevalence of axial spondyloarthritis in United States rheumatology practices: Assessment of SpondyloArthritis International Society criteria versus rheumatology expert clinical diagnosis. *Arthritis Care Res (Hoboken)*. 2013 Aug;65(8):1299-306.
- <sup>7</sup> Poddubnyy D, Brandt H, Vahldiek J, et al. The frequency of non-radiographic axial spondyloarthritis in relation to symptom duration in patients referred because of chronic back pain: results from the Berlin early spondyloarthritis clinic. *Ann Rheum Dis*. 2012;71:1998-2001.
- <sup>8</sup> Komunikat DGL z 28.11.2014 r. Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń - sierpień 2014).  
<http://nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=6405> [dostęp 03.12.2014 r.].
- <sup>9</sup> Agencja Oceny Technologii Medycznych (AOTM). Wytyczne Oceny Technologii Medycznych (HTA). Warszawa, kwiecień 2009.  
[http://www.aotm.gov.pl/www/assets/files/wytyczne\\_hta/2009/Wytyczne\\_HTA\\_pl\\_MS\\_29052009.pdf](http://www.aotm.gov.pl/www/assets/files/wytyczne_hta/2009/Wytyczne_HTA_pl_MS_29052009.pdf) [dostęp 03.12.2014 r.].
- <sup>10</sup> Dougados M, van der Heijde D, Sieper J, Braun J, Maksymowych WP, Citera G, Miceli-Richard C, Wei JC, Pedersen R, Bonin R, Rahman MU, Logeart I, Wajdula J, Koenig AS, Vlahos B, Alvarez D,



