

***Załącznik 2 do uzupełnienia
analitików Instytutu Arcana do
raportu HTA dla produktu
lecniczego NovoEight® (turoktokog
alfa) zgodnie z uwagami AOTM
zawartymi w piśmie Ministra
Zdrowia PLR.4600.64.2015.18.BR
(nr sprawy: R14114557).***

Instytut Arcana

Ul. Płk. St. Dąbka 8

30-732 Kraków, Poland

Tel. +48 12 26 36 038



Uzupełnienie analizy wpływu na budżet w zakresie wydzielenia populacji pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego z rocznej liczebności populacji zgodnej z § 6. ust. 1 pkt 1 Rozporządzenia.

W odpowiedzi na pismo Ministra Zdrowia PLR.4600.64.2015.18.BR (nr sprawy: R14114557) w odniesieniu do analizy wpływu na budżet dokonano uzupełnienia w zakresie wydzielenia populacji pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego z rocznej liczebności populacji zgodnej z § 6. ust. 1 pkt 1 Rozporządzenia.

Zgodnie z "Zasadami postępowania w hemofilii A i B" [1] założenie cewnika do żyły centralnej konieczne jest nierzadko „u najmniejszych dzieci”. Autorzy przytoczonych zaleceń nie wskazują na konkretny maksymalny wiek graniczny dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego. Zakładając jednak, iż terminem „najmniejsze dzieci” nie objęto nastolatków przyjęto, iż założenie centralnego dostępu żylnego konieczne jest

I. Populacja pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

Biorąc pod uwagę przyjęty maksymalny wiek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego, w celu wydzielenia ww. populacji z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana dokonano kalkulacji liczby osób z hemofilią A

Posłużono się przy tym najświeższymi danymi WFH (raport za 2013 rok [2]) na temat odsetków chorych z hemofilią A z poszczególnych grup wiekowych w Polsce.

Tabela 1.
Dane WFH na temat wieku osób z hemofilią A w Polsce [2]

WFH Global Survey 2013	Ogółem	Wiek [lata]				
		0-4	5-13	14-18	19-44	45+
Udział liczby osób z hemofilią A z poszczególnych grup wiekowych w Polsce - dane WFH	99%	1%	7%	5%	53%	33%

Z uwagi na fakt, iż wyżej zacytowane dane nie sumują się do 100% (prawdopodobnie wartości po przecinku zostały "odcięte") dokonano rekalkulacji odsetków w celu uzyskania pożądanej sumy.

Tabela 2.
Wiek osób z hemofilią A w Polsce – rekalkulacja danych WFH

	Ogółem	Wiek [lata]				
		0-4	5-13	14-18	19-44	45+
Udział liczby osób z hemofilią A z poszczególnych grup wiekowych w Polsce - rekalkulacja danych WFH do 100%	100,00%	1,01%	7,07%	5,05%	53,54%	33,33%

W celu wyodrębnienia chorych w wieku do ukończenia [redacted] dokonano kalkulacji udziału pacjentów w [redacted] w kategorii wiekowej [redacted] posługując się danymi GUS [3] dotyczącymi polskiej populacji chłopców w latach 2014 i 2016-2017.

Tabela 3.

Kalkulacje udziału chłopców w wieku [redacted] w populacji chłopców w wieku [redacted] w Polsce w oparciu o dane GUS

Dane GUS	2014	2016	2017
Liczba chłopców w wieku [redacted] w Polsce	1 219 935	1 263 994	1 267 729
Liczba chłopców w wieku [redacted] w Polsce	1 769 978	1 815 959	1 836 076
Udział chłopców w wieku [redacted] populacji chłopców w wieku [redacted] w Polsce	68,92%	69,60%	69,05%

Uwzględniając przedstawiony w Tabeli 2 odsetek chorych na hemofilię A w wieku [redacted] oraz wyznaczone w Tabeli 3 udziały chłopców w wieku [redacted] w populacji chłopców w [redacted] w Polsce skalkulowano udział chłopców z hemofilią A w wieku [redacted] w populacji chorych z hemofilią A w Polsce. Wynik przedstawiono w poniższej tabeli.

Tabela 4.

Kalkulacje udziału chłopców z hemofilią A w wieku [redacted] w populacji chorych z hemofilią A w Polsce w oparciu o dane WFH i GUS

	2014	2016	2017
Udział chłopców z hemofilią A w wieku [redacted] w populacji chorych z hemofilią A w Polsce	4,87%	4,92%	4,88%

Biorąc pod uwagę przedstawiony w Tabeli 2 odsetek chorych na hemofilię A w wieku 0-4 r.ż. równy 1,01%, wyznaczony w Tabeli 4 udział chłopców z hemofilią A w wieku [redacted] w populacji chorych z hemofilią A w Polsce oraz przedstawioną w analizie wpływu na budżet [4] roczną liczebność populacji pacjentów z hemofilią A w Polsce, u których wnioskowana technologia może być zastosowana skalkulowano roczną liczebność chorych na hemofilię A w Polsce w [redacted]

Tabela 5.

Kalkulacje rocznej liczebności chorych na hemofilię A w Polsce w wieku ≤ 10 r.ż.

	2014	2016	2017
Udział chłopców z hemofilią A w wieku 0-4 r.ż. w populacji chorych z hemofilią A w Polsce	1,01%		
Udział chłopców z hemofilią A w wieku [redacted] w populacji chorych z hemofilią A w Polsce	4,87%	4,92%	4,88%
Udział liczby osób z hemofilią [redacted] w całkowitej populacji chorych z hemofilią A w Polsce	5,88%	5,93%	5,89%
Liczba osób z hemofilią A w Polsce	2 692	2 686	2 682
Liczba osób z hemofilią A [redacted] w Polsce	158	159	158

Przyjmując, iż powyższy odsetek jest jednakowy w populacji chorych z hemofilią A do ukończenia wyznaczono liczbę chorych z hemofilią A, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzieloną z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana.

Tabela 6.

Kalkulacje rocznej liczebności chorych na hemofilią A w Polsce, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielonej z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana

	2014	2016	2017
Liczba osób z hemofilią A w Polsce	158	159	158
Odsetek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego			
Liczba osób z hemofilią A, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana			

2. Populacja pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji docelowej, wskazanej we wniosku

(pacjentów włączanych do programu stanowić będą chłopcy w wieku do 2 r.ż. - zgodnie z definicją pierwotnej profilaktyki krwawień [1]).

Biorąc pod uwagę przyjęte założenie, iż przeprowadzenie zabiegu założenia centralnego dostępu żylnego konieczne jest u dzieci kalkulej liczebności pacjentów wymagających takiego zabiegu spośród chorych należących do populacji docelowej dokonano w oparciu o przedstawioną w analizie wpływu na budżet [4] całkowitą liczbę chorych należących do populacji docelowej

Wyniki oszacowań w zakresie analizy podstawowej oraz analizy scenariuszy skrajnych przedstawiono w tabeli poniżej.

Tabela 7.
Kalkulacje rocznej liczebności chorych na hemofilię A w Polsce, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielonej z populacji docelowej

	2014	2016	2017
Analiza podstawowa			
Wielkość populacji docelowej	■	■	■
Odsetek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego	■		
Liczba pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji docelowej, wskazanej we wniosku	■	■	■
Scenariusz minimalny			
Wielkość populacji docelowej	■	■	■
Odsetek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego	■		
Liczba pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji docelowej, wskazanej we wniosku	■	■	■
Scenariusz maksymalny			
Wielkość populacji docelowej	■	■	■
Odsetek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego	■		
Liczba pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji docelowej, wskazanej we wniosku	■	■	■

3. Populacja pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

Tabela 8.
Kalkulacje rocznej liczebności chorych na hemofilię A w Polsce, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielonej z populacji, w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana

	2014
Liczba pacjentów, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana w Polsce	█
Odsetek pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego	██
Liczba pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego wydzielona z populacji pacjentów, u których wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	█

W załączniku 5 znajduje się dokument elektroniczny umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji i oszacowań, przeprowadzonych na potrzeby uzupełnienia analizy wpływu na budżet w zakresie wydzielenia populacji pacjentów, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego z rocznej liczebności populacji zgodnej z § 6. ust. 1 pkt 1 Rozporządzenia.

REFERENCJE

1. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Zdziarska J, Zawilska K w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. *Polskie Zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. Część I: Zasady postępowania w hemofilii A i B. Acta Haematologica Polonica 2008, 39 (3); 537-564.*
2. World Federation of Hemophilia. Report on the Annual Global Survey 2013. November 2014. [<http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1591.pdf>]
3. Główny Urząd Statystyczny. Prognoza ludności na lata 2014-2050. Warszawa 01.10.2014
4. ██████████ Analiza wpływu na system ochrony zdrowia refundacji turoktokogu alfa (produkt leczniczy NovoEight®) stosowanego w pierwotnej profilaktyce krwawień u pacjentów ≤26 r.ż. z hemofilią A (wrodzony niedobór czynnika VIII). Praca niepublikowana. Instytut Arcana, Kraków 2014

