



IGNORANTIA NOCET

# Gilenya<sup>®</sup> (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia  
Wersja 1.1

Wykonawca:  
MAHTA Sp. z o.o.  
ul. Rejtana 17/5  
02 - 516 Warszawa  
Tel. 22 542 41 54  
E-mail: [biuro@mahta.pl](mailto:biuro@mahta.pl)

Przygotowano dla:  
Novartis Poland Sp. z o.o.

Warszawa, 8 września 2015

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Analiza wpływu na system ochrony zdrowia została zaktualizowana 8 września 2015 roku w związku z uwagami zawartymi w piśmie PLR.4600.700.2.2015.5.DD. Pierwotnie analiza została zakończona 1 kwietnia 2015 roku

Autorzy	Wykonywane zadania
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Koncepcja analizy;</li> <li>⊗ Kontrola jakości;</li> </ul>
[Redacted]	<ul style="list-style-type: none"> <li>⊗ Zdefiniowanie populacji;</li> <li>⊗ Oszacowanie wielkości populacji docelowej;</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Aspekty etyczne i społeczne</li> <li>⊗ Opracowanie możliwych scenariuszy;</li> <li>⊗ Ocena kosztów;</li> <li>⊗ Wnioski końcowe</li> </ul>

[Redacted]

[Redacted]

[Redacted]

**Konflikt interesów:**

Raport wykonano na zlecenie firmy Novartis Poland Sp. z o.o., która finansowała pracę. Autorzy nie mieli innego rodzaju konfliktu interesów.



---

## Spis treści

<b>Indeks skrótów .....</b>	<b>5</b>
<b>Streszczenie .....</b>	<b>6</b>
<b>1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia.....</b>	<b>10</b>
<b>2. Analiza wpływu na budżet .....</b>	<b>10</b>
2.1. Metodyka analizy.....	10
2.2. Horyzont czasowy .....	11
2.3. Perspektywa .....	12
2.4. Scenariusze porównywane.....	12
2.5. Populacja.....	14
2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana .....	14
2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku refundacyjnym.....	17
2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana .....	17
2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją .....	18
2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją .....	20
2.6. Analiza kosztów.....	21
2.6.1. Modelowanie kosztów .....	22
2.6.2. Koszty leków, podania leków, diagnostyki i monitorowania .....	22
2.6.3. Koszt leczenia rzutu choroby i leczenia objawowego .....	25
2.6.4. Koszty pośrednie.....	27
2.7. Wartości i źródła parametrów analizy .....	27
2.8. Wydatki na leczenie populacji docelowej .....	29
2.8.1. Prognozowane wydatki .....	31

---

---

2.8.2. Aktualne wydatki .....	41
<b>3. Analiza wrażliwości .....</b>	<b>42</b>
	
	
<b>4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych .....</b>	<b>45</b>
<b>5. Aspekty etyczne i społeczne .....</b>	<b>45</b>
<b>6. Założenia i ograniczenia .....</b>	<b>47</b>
<b>7. Podsumowanie i wnioski końcowe .....</b>	<b>48</b>
<b>8. Załączniki .....</b>	<b>50</b>
8.1. Dane refundacyjne NFZ.....	50
8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w <i>Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	51
<b>9. Spis tabel .....</b>	<b>53</b>
<b>10. Spis rysunków .....</b>	<b>55</b>
<b>11. Bibliografia.....</b>	<b>56</b>

---

## Indeks skrótów

Skrót	Rozwinięcie
AOTM	Agencja Oceny Technologii Medycznych
EDSS	ang. <i>Expanded Disability Status Scale</i> – rozszerzona skala niewydolności ruchowej
FIN	fingolimod
MSIF	ang. <i>Multiple Sclerosis International Federation</i> – Międzynarodowa Federacja Towarzystw Stwardnienia Rozsianego
NAT	natalizumab
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia
PL	program lekowy
RES	ang. <i>rapidly evolving severe</i> – ciężka, szybko rozwijająca się postać choroby
SM	łac. <i>sclerosis multiplex</i> – stwardnienie rozsiane

---

## Streszczenie

### CEL I ZAKRES

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie możliwych następstw, w szczególności wydatków, związanych z podjęciem decyzji o objęciu refundacją leku Gilenya® (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego. Fingolimod jest obecnie refundowany w ramach *Programu lekowego - Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)*. Wnioskowanym sposobem refundacji fingolimodu (Gilenya®) jest w omawianym wskazaniu jest *Wykaz leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej – lek dostępny w ramach programu lekowego.

Dokument składa się z analizy wpływu na budżet, analizy wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych oraz zestawienia aspektów etycznych i społecznych.

### METODYKA

Analizę wpływu na budżet wykonano z perspektywy płatnika publicznego (NFZ), z perspektywy wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego i pacjenta) oraz z perspektywy społecznej. Przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od 1 stycznia 2016 do 31 grudnia 2017 roku, w tym okres od 1 stycznia 2016 do 31 grudnia 2016 określony w analizie jako I rok finansowania oraz okres od 1 stycznia 2017 do 31 grudnia 2017 określony w analizie jako II rok finansowania.

Populację docelową dla technologii ocenianej, we wnioskowanym wskazaniu stanowią chorzy na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego. Liczebność tej populacji oszacowano na podstawie danych epidemiologicznych oraz na podstawie danych o wielkości refundacji leków, stosowanych w tej populacji – które pozwalały na pośrednie przeliczenie ich na wielkość rzeczywiście leczonej populacji.

W analizie wpływu na budżet rozpatrywano dwa scenariusze: istniejący oraz nowy. Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której lek Gilenya® (fingolimod) nie jest refundowany z budżetu płatnika publicznego w rozpatrywanym wskazaniu (jest refundowany tylko w innym wskazaniu). W scenariuszu tym, leczenie chorych z rozpatrywanej populacji może odbywać się z wykorzystaniem natalizumabu w *Programie lekowym - Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko*

---

---

rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35). W scenariuszu nowym analizowano sytuację, w której również lek Gilenya<sup>®</sup> (fingolimod) będzie stosowany w rozpatrywanej populacji i finansowany ze środków publicznych w Wykazie leków refundowanych, w kategorii dostępności refundacyjnej – lek dostępny w ramach programu lekowego.

Koszty związane z zastosowaniem porównywanych terapii, wyznaczono jako sumę kosztów występujących w następujących kategoriach: koszty leków, koszty podania, koszty diagnostyki i monitorowania, koszty leczenia rzutu choroby oraz koszty leczenia objawowego. Kategorie te uwzględniano w analizie wykonanej w perspektywie płatnika publicznego oraz w perspektywie wspólnej. W perspektywie społecznej, uwzględniono dodatkowo koszty pośrednie. Koszty wynikające z zastosowania poszczególnych schematów postępowania terapeutycznego przyjęto na podstawie wyników przeprowadzonej *Analizy ekonomicznej*.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Analiza wpływu na budżet polegała na określeniu łącznych wydatków związanych z leczeniem chorych z rozpatrywanej populacji we wszystkich rozpatrywanych perspektywach, w scenariuszu istniejącym, w scenariuszu nowym oraz określenie wydatków inkrementalnych tj. wydatków różniących porównywane scenariusze. Wydatki w każdym ze scenariuszy określano w trzech wariantach: prawdopodobnym, minimalnym oraz maksymalnym.

---

---

## PROGNOZA WIELKOŚCI POPULACJI LECZONEJ

[Redacted content]

## WPŁYW NA WYDATKI

[Redacted content]



[REDACTED]

## **INKREMENTALNE WYDATKI ZWIĄZANE Z REFUNDACJĄ GILENYA<sup>®</sup>**

[REDACTED]

## **PODSUMOWANIE I WNIOSKI**

W niniejszej pracy dążono do dokonania oceny wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o objęciu refundacją leku Gilenya<sup>®</sup> (fingolimod) w kolejnym wskazaniu - w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego, w *Wykazie leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej – lek dostępny w ramach programu lekowego.

Finansowanie leku Gilenya<sup>®</sup> w rozpatrywanym wskazaniu przyczyni się do poprawy standardu postępowania terapeutycznego w leczeniu stwardnienia rozsianego. Stosowanie fingolimodu będzie mniej uciążliwe niż stosowanie natalizumabu (podanie leku doustnie a nie w infuzji). Mniejsza uciążliwość terapii zwiększy satysfakcję z leczenia i jakości życia chorych. Leczeniem zostaną objęci chorzy z obecność przeciwciał anti-JCV, którzy do tej pory nie mieli zagwarantowanej skutecznej terapii.

## 1. Cel analizy wpływu na system ochrony zdrowia

Celem analizy wpływu na system ochrony zdrowia jest oszacowanie wydatków związanych z podjęciem pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Gilenya® (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego. Fingolimod jest obecnie refundowany w ramach *Programu lekowego - Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)*. Wnioskowanym sposobem refundacji fingolimodu (Gilenya®) jest w omawianym wskazaniu jest *Wykaz leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej – lek dostępny w ramach programu lekowego [REDACTED]

Ponadto, w ramach niniejszej analizy oceniano etyczne oraz społeczne konsekwencje podjęcia pozytywnej decyzji o finansowaniu ze środków publicznych leku Gilenya® (fingolimod) w przedstawionym wskazaniu.

## 2. Analiza wpływu na budżet

### 2.1. Metodyka analizy

Wykonanie analizy rozpoczęto od zdefiniowania populacji docelowej i określenia jej obecnej wielkości, w tym wielkości populacji rzeczywiście leczonej w Polsce (nie wszyscy chorzy się leczą).

Przeprowadzono prognozę wielkości populacji leczonej w ramach *Programu lekowego* w latach 2016 i 2017 (obejmujących horyzont niniejszej analizy – I rok od 1 stycznia 2016 do końca grudnia 2016 oraz II rok od 1 stycznia 2017 do końca grudnia 2017). [REDACTED]

[REDACTED]

Na podstawie *Komunikatu NFZ - Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii* [11] określono obecne udziały leków refundowanych w rozpatrywanym *Programie lekowym*, którego dotyczyć będą ewentualne zmiany w przypadku objęcia refundacją fingolimodu. Oszacowano również zmianę jaka może mieć miejsce w przypadku rozpoczęcia finansowania fingolimodu w rozpatrywanym wskazaniu.

Na podstawie wyników przeprowadzonej *Analizy ekonomicznej* oszacowano koszty związane z poddaniem chorych terapii z wykorzystaniem leku Gilenya® (fingolimod) bądź komparatora (natalizumab w postaci leku Tysabri®). Koszt natalizumabu, stanowiącego terapię alternatywną określono w oparciu o *Obwieszczenie MZ w sprawie wykazu leków refundowanych* [13].

Obliczono przewidywane wydatki związane z leczeniem chorych w *Programie lekowym* (w tym wydatki dotyczące rozpatrywanej populacji) w perspektywie płatnika publicznego, w perspektywie wspólnej oraz w perspektywie społecznej, w scenariuszu nowym - zakładającym objęcie refundacją leku Gilenya® w rozpatrywanym wskazaniu oraz w scenariuszu istniejącym - zakładającym kontynuację sytuacji dotychczasowej (brak refundacji leku Gilenya® w rozpatrywanym wskazaniu), w wariantach zależnych od wielkości populacji leczonej w *Programie lekowym*. Na podstawie różnicy między analizowanymi scenariuszami określono wydatki inkrementalne. Wydatki w porównywanych scenariuszach obliczono dla całego *Programu lekowego*, nie tylko dla populacji rozpatrywanej w niniejszej analizie, stanowiącej część leczonej w nim populacji.

W niniejszym dokumencie wyniki oraz wartości parametrów podawano najczęściej z dokładnością do dwóch miejsc po przecinku, natomiast obliczenia wykonano na wartościach bez zaokrągleń (w celu uzyskania bardziej dokładnych wyników).

## 2.2. Horyzont czasowy

Zgodnie z *Wytycznymi Agencji Oceny Technologii Medycznych (AOTM)* oraz *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań* (zwanym dalej *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnych wymagań*), horyzont czasowy analizy wpływu na budżet powinien obejmować okres do momentu ustalenia się stanu równowagi oraz co najmniej pierwsze 2 lata od daty rozpoczęcia finansowania danej technologii medycznej ze środków publicznych [1, 17].

W analizie przyjęto 2-letni horyzont czasowy, obejmujący okres od 1 stycznia 2016 do końca grudnia 2017, w tym okres określany jako I rok - od 1 stycznia 2016 do końca grudnia 2016 oraz II rok - od 1 stycznia 2017 do końca grudnia 2017. Uzasadnieniem przyjęcia takiego horyzontu czasowego jest fakt, że rozpatrywane wskazanie dotyczy dość małej populacji chorych więc osiągnięcie stanu równowagi powinno nastąpić szybko, tym bardziej, że w *Programie lekowym* o stosowanie leków jest ściśle kontrolowane. Ponadto w obliczu podobnej skuteczności fingolimodu i natalizumabu, przewaga fingolimodu związana z wygodniejszą formą podania może spowodować szybkie uzyskanie pozycji dominującej.

### 2.3. Perspektywa

Zgodnie z *Rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu* [17], zwanym dalej *Rozporządzeniem MZ w sprawie minimalnym wymagań* analiza została przeprowadzona z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych (zgodnie z art. 14 *Ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* jest nim płatnik publiczny, czyli Narodowy Fundusz Zdrowia [19]). Ponadto wykonano analizę z perspektywy wspólnej podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy (tj. pacjenta) [17].

Dodatkowo, z uwagi na fakt, że choroba generuje znaczące koszty pośrednie (oraz powoduje obniżenie jakości życia osób z najbliższego otoczenia chorych), analizę wykonano także z perspektywy społecznej.

### 2.4. Scenariusze porównywane

W analizie wpływu na budżet rozważano dwa scenariusze: istniejący oraz scenariusz nowy.

Scenariusz istniejący obrazuje sytuację obecną, w której technologia wnioskowana nie jest refundowana w rozpatrywanym wskazaniu z budżetu płatnika publicznego (zgodnie z *Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 22 sierpnia 2014 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych*, zwanego dalej *Obwieszczeniem MZ w sprawie wykazu leków*

---

refundowanych [13]). W scenariuszu tym, w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego w *Programie lekowym - „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”* stosowany jest natalizumab.

W scenariuszu nowym analizowano sytuację, w której również lek Gilenya® (fingolimod) będzie stosowany w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego. W analizie uwzględniono finansowanie tej technologii medycznej [REDACTED] i *Programie lekowym* – z uwzględnieniem proponowanej ceny leku dla nowego wskazania.

Dla każdego ze scenariuszy określono trzy możliwe warianty, różniące się między sobą szacunkiem wielkości populacji leczącej się w *Programie lekowym*. Wpływ na budżet płatnika, wyznaczony został jako różnica pomiędzy scenariuszem nowym a scenariuszem istniejącym w odpowiadających sobie wariantach.

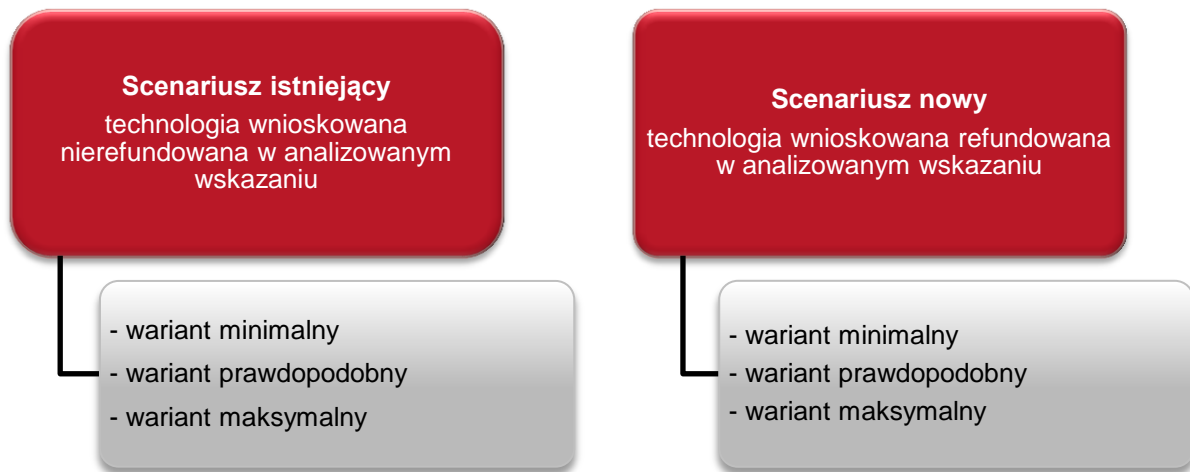
Analizowane scenariusze (istniejący, nowy) oraz ich warianty (minimalny, prawdopodobny, maksymalny) przedstawiono na poniższym schemacie. Wariant minimalny uwzględnia minimalną wielkość całkowitej<sup>1</sup> populacji rzeczywiście leczonej w *Programie lekowym* oraz minimalną liczbę nowowłączanych chorych z RES SM. Warianty prawdopodobny i maksymalny mają analogiczną konstrukcję.

---

<sup>1</sup> Łącznie chorych leczonych w II linii oraz chorych z RES SM

---

**Rysunek 1.**  
**Scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet**



Źródło: opracowanie własne

## 2.5. Populacja

### 2.5.1. Populacja obejmująca wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana

Populację badaną w analizie wpływu na budżet stanowią chorzy, u których oceniania technologia może być zastosowana [1]. Zgodnie z *Charakterystyką Produktu Leczniczego Gilenya<sup>®</sup>* [3], lek ten wskazany jest w leczeniu:

- ⊗ *pacjentów z wysoką aktywnością choroby pomimo leczenia co najmniej jednym produktem leczniczym modyfikującym jej przebieg (...)* - czyli w leczeniu stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu obecnie finansowanym w ramach *Programu lekowego*,
- ⊗ *pacjentów z szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postacią stwardnienia rozsianego (...)* – czyli w leczeniu chorych stanowiących przedmiot niniejszej analizy.

#### 2.5.1.1. Ujęcie epidemiologiczne

W Polsce nie prowadzi się wiarygodnego, oficjalnego krajowego rejestru chorych na SM (łac. *sclerosis multiplex* – stwardnienie rozsiane). Jednak dane takie zawarte są w raporcie MSIF (ang. *Multiple Sclerosis International Federation* – Międzynarodowa Federacja

---

Towarzystw Stwardnienia Rozsianego), w którym rejestrowane są dane dla chorobowości i zachorowalności na SM w różnych krajach Europy.

Na podstawie danych MSIF z 2008 roku w Polsce na SM choruje 120 osób na 100 000 mieszkańców, uwzględniając aktualną liczbę mieszkańców Polski – około 38,5 mln (Rocznik Statystyczny Rzeczypospolitej Polskiej z 2013 roku [8]), chorobowość według tego źródła wynosi około 46 200 chorych.

W Narodowym Programie Leczenia Chorych ze Stwardnieniem Rozsianym, przygotowanym przez zespół Ekspertów dla Ministerstwa Zdrowia na lata 2006 - podano, że chorobowość na SM w Polsce wynosi około 150 na 100 000 osób. Uwzględniając aktualną liczbę mieszkańców Polski, chorobowość według tego źródła wynosi około 57 750 chorych.

Według innych danych, podawana w literaturze, całkowita liczba chorych na MS w Polsce wynosząca 60 000, jest nieuzasadniona, a podana przez zespół Ekspertów dla MZ wartość wynosząca 150/100 000 może być znacznie przeszacowana. Według publikacji prof. Losego, biorąc pod uwagę wszystkie określone do tej pory w Polsce współczynniki chorobowości opublikowane po roku 1980 (██████████), można przyjąć, że w Polsce liczba chorych na MS wynosi ██████████

Z kolei według danych *Charles River Associates* podano, że w 2013 w Polsce było 45 000 chorych na MS. Według danych Polskiego Towarzystwa Stwardnienia Rozsianego (PTSR) w Polsce chorobowość na MS w 2011 roku wynosiła natomiast około 38 050 chorych.

Zgodnie z danymi przedstawionymi powyżej chorobowość na MS w Polsce zawiera się w przedziale od 17 325 do 60 000 chorych zależnie od przyjętego źródła. Należy jednak zaznaczyć, że górny zakres podanych wartości może być przeszacowany, dlatego bardziej prawdopodobnym przedziałem wydaje się ██████████

Na podstawie danych MSIF z 2008 roku<sup>2</sup> stwierdzono, iż zachorowalność na SM w Polsce wynosi 2,16 chorych na 100 000 osób, co oznacza 832 nowych przypadków na rok<sup>3</sup> - przy

---

<sup>2</sup> Roczna zapadalność na SM w Polsce oscyluje w granicach 1,5 do 3,7 przypadków na 100 000 osób według danych podanych w rekomendacji AOTMiT z 2014 dla octanu glatirameru, zatem średnia roczna zapadalność jest zbliżona do wartości podanych przez MSIF.

założeniu, że wydolność systemu ochrony zdrowia pozwalałaby na leczenie wszystkich chorych, prawdopodobnie ta liczba odpowiadałaby również maksymalnej liczbie chorych na stwardnienie rozlane kwalifikującej się do leczenia w kolejnej linii terapii SM, stanowiąc jedną z dwóch podpopulacji, w których wskazane jest stosowanie fingolimodu.

Według danych przedstawionych w szkockim wniosku refundacyjnym dla leku Gilenya®, szacuje się, że w Szkocji jest około 500 chorych na RES RRMS (w Szkocji jest ok. 10 000 chorych na SM, co oznacza, że populacja RES stanowi 5%). Przy założeniu, że w Polsce chorzy na RES RRMS [REDACTED]

### 2.5.1.2. Ujęcie praktyczne

W praktyce, wszyscy chorzy stanowiący populację, w której wskazane jest stosowanie fingolimodu są leczeni w *Programie lekowym - „Leczenie stwardnienia rozlanego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozlanego (ICD-10 G 35)”* lub nie są leczeni w ramach polskiego systemu ochrony zdrowia.

---

<sup>3</sup>2,16 chorych na 100 tys. mieszkańców został przeliczone na aktualną liczbę nowych zachorowań w Polsce przez pomnożenie 2,16 przez 38,5 mln, a następnie podzielenie przez 100 tys.



---

## 2.5.2. Populacja docelowa, wskazana we wniosku refundacyjnym

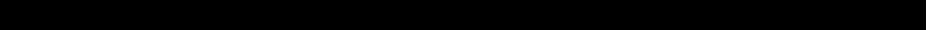
Populacją docelową, stanowiącą przedmiot niniejszej analizy są:


- ⊕ pacjenci z szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postacią stwardnienia rozsianego

## 2.5.3. Populacja, w której technologia wnioskowana jest obecnie stosowana

Spośród dwóch wskazań wymienionych w *Charakterystyce Produktu Leczniczego Gilenya®* - fingolimod jest obecnie stosowany w Polsce, w ramach systemu ochrony zdrowia we wskazaniu:

- ⊕ *pacjentów z wysoką aktywnością choroby pomimo leczenia co najmniej jednym produktem leczniczym modyfikującym jej przebieg (...) - czyli w leczeniu stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu obecnie finansowanym w ramach Programu lekowego.*

Szczegóły dotyczące szacunku wielkości tej populacji przedstawiono we wcześniejszym rozdziale 2.5.1 dotyczącym wszystkich chorych, u których technologia wnioskowana może zostać zastosowana. 



[Redacted text]

**2.5.4. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją**

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

**Tabela 1.**

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

[Redacted text]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Tabela 2.**



**2.5.5. Populacja, w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją**

[Redacted text block]

**Tabela 3.**



[Redacted text block]

[Redacted text]

**Tabela 4.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

**Tabela 5.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

[Redacted text]

[Redacted text]

## 2.6. Analiza kosztów

Kategorie kosztów zaczerpnięto z *Analizy ekonomicznej* [10]. W analizie z perspektywy płatnika publicznego i wspólnej uwzględniono następujące kategorie kosztów:

- ⊗ koszty leków;
- ⊗ koszty podania leku;
- ⊗ koszty diagnostyki i monitorowania;
- ⊗ koszty leczenia rzutu choroby;
- ⊗ koszty leczenia objawowego.

W analizie wykonanej z perspektywy społecznej uwzględniono wszystkie wcześniej wskazane kategorie kosztowe oraz koszty pośrednie.

### **2.6.1. Modelowanie kosztów**

Część spośród kosztów występujących w leczeniu rozpatrywanej populacji wynika wprost z zastosowanych terapii i jest możliwa do określenia w sposób dokładny. Do kosztów tych należą koszty leków, koszty podania leku oraz koszty diagnostyki i monitorowania.

Część spośród kosztów zależy od efektów terapii – zmian w stopniu niepełnosprawności w skali EDSS (ang. *Expanded Disability Status Scale* – rozszerzona skala niewydolności ruchowej) i rocznej częstości rzutów. Z tego względu konieczne było wykonanie modelowania tych kosztów.

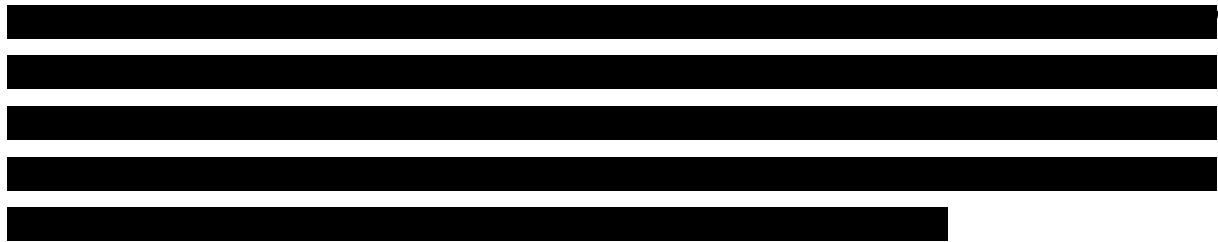
Modelowane efekty zdrowotne terapii fingolimodem i natalizumabem są takie same, jak w przypadku *Analizy ekonomicznej* - tam też znajduje się szerszy opis kalkulacji. Na potrzeby analizy przyjęto, że chorzy nieleczeni w scenariuszu istniejącym mają takie same efekty zdrowotne terapii. Jest to założenie wyjątkowo konserwatywne, w związku z którym, wysokość kosztów wynikających ze skuteczności terapii dla nieleczenia będzie taka sama jak dla terapii fingolimodem i natalizumabem.

Wysokość kosztów wynikających ze skuteczności terapii (kosztów leczenia rzutu, kosztów leczenia objawowego i kosztów pośrednich zależnych od stopnia niepełnosprawności w skali EDSS) uwzględniono w oszacowaniu całkowitych wydatków, choć należy podkreślić że na koszty inkrementalne wpływ mają tylko koszty leków i podania, a na całkowite wydatki w *Programie lekowym* mają tylko koszty leków i podania oraz diagnostyki i monitorowania.

### **2.6.2. Koszty leków, podania leków, diagnostyki i monitorowania**

Koszty leków, ich podania oraz diagnostyki i monitorowania dla terapii fingolimodem i natalizumabem przedstawiono w poniższych podrozdziałach. Koszty przedstawiono w podziale na perspektywy analizy (perspektywę płatnika publicznego, wspólną i społeczną), w przypadkach, gdy występowały różnice w wysokości kosztów w zależności od rozpatrywanej perspektywy.





Koszt natalizumabu w analizie podstawowej określono na podstawie aktualnego *Obwieszczenia MZ ws. wykazu refundowanych leków*, w analizie wrażliwości na podstawie *Komunikatu NFZ*.

W oparciu o *Charakterystykę Produktu Leczniczego Gilenya<sup>®</sup>*, *Charakterystykę Produktu Leczniczego Tysabri<sup>®</sup>* i obecne zapisy *Programu lekowego* określono średnią liczbę opakowań zużywanych w terapii jednego chorego w ciągu roku. Całkowite roczne wydatki na leki obliczono jako iloczyn średniego kosztu opakowania danego leku i liczby opakowań zużywanych w ciągu roku terapii.

Fingolimod (Gilenya<sup>®</sup>) nie wymaga specjalnych środków związanych z jego podaniem – wydawanie leku może odbywać się w trakcie wizyt monitorujących stan zdrowia chorego, nie generując żadnych dodatkowych kosztów. Natalizumab podawany jest we wlewie dożylnym, który wykonywany jest w szpitalu – co wiąże się z kosztem wynoszącym 468 PLN [10].

Terapia w *Programie lekowym* wymaga diagnostyki a następnie monitorowania, którego roczny koszt wynosi około 1 248 PLN [10] – co wynika z wartości ryczałtu.

Wszelkie szczegóły dotyczące sposobu określania wysokości wyżej przedstawionych kosztów przedstawiono w *Analizie ekonomicznej*.

W przypadku chorych nie objętych terapią systemową (scenariusz istniejący) przyjęto, że koszt leku, jego podania nie będzie występował. Koszt i monitorowania terapii będzie analogiczny jak koszt monitorowania chorych leczonych fingolimodem i natalizumabem. Jest to założenie konserwatywne.

### 2.6.2.1. Terapia fingolimodem (Gilenya<sup>®</sup>)





[Redacted text block]

**Tabela 6.**

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

Fingolimod podawany jest codziennie - raz na dobę; opakowanie leku zawierające 28 kapsułek twardych po 0,5 mg wystarcza na 28 dni terapii.

Z uwzględnieniem m.in. powyżej przedstawionych kosztów leku Gilenya® dokonano podsumowania kosztów związanych z terapią fingolimodem w rozpatrywanej populacji chorych, w trakcie terapii.

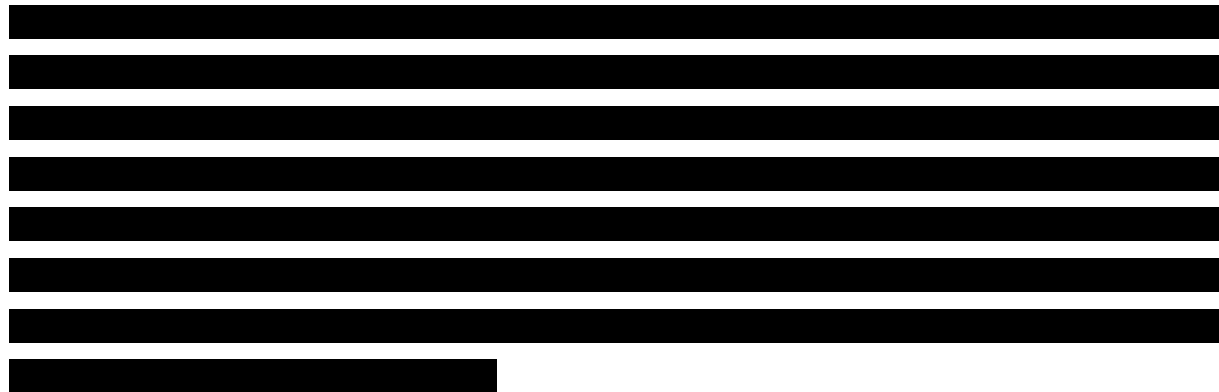
**Tabela 7.**

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

\*koszt 13,04 opakowań Gilenya® zużytych w ciągu roku  
Źródło: opracowanie własne

**Tabela 8.**

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



### 2.6.2.2. Terapia natalizumabem (Tysabri®)

W poniższej tabeli przedstawiono koszty terapii natalizumabem, które uwzględniają koszt leku Tysabri® określone na podstawie Obwieszczenia MZ ws. wykazu refundowanych leków [13] - wykorzystane w analizie podstawowej.

**Tabela 9.**  
**Koszt terapii natalizumabem (w perspektywie płatnika publicznego, wspólnej, społecznej) – z uwzględnieniem kosztu leku określonego na podstawie Obwieszczenia MZ ws. wykazu refundowanych leków**

Roczny koszt leku* [PLN]	Koszt podania leku [PLN]	Koszt diagnostyki i monitorowania [PLN]
87 219	6 105	1 248

\*koszt 13,04 opakowań Tysabri® zużywanych w ciągu roku  
Źródło: opracowanie własne

Poniższe koszty terapii natalizumabem uwzględniają m.in. średni koszt refundowanych opakowań leku Tysabri® określony na podstawie *Komunikatu NFZ* dotyczącego wartości refundacji cen leków w okresie styczeń-grudzień 2014 (Tabela 33) – wykorzystano je w analizie wrażliwości.

**Tabela 10.**  
**Koszt terapii natalizumabem (w perspektywie płatnika publicznego, wspólnej, społecznej) – z uwzględnieniem kosztu leku określonego na podstawie Komunikatu NFZ**

Roczny koszt leku* [PLN]	Koszt podania leku [PLN]	Koszt diagnostyki i monitorowania [PLN]
80 079	6 105	1 248

\*koszt 13,04 opakowań Tysabri® zużywanych w ciągu roku  
Źródło: opracowanie własne

### 2.6.3. Koszt leczenia rzutu choroby i leczenia objawowego



[Redacted text block]

**Tabela 11.**

!	[Redacted]		[Redacted]	
	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]		[Redacted]	

[Redacted text block]

**Tabela 12.**

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

[Redacted text block]

**Tabela 13.**

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

**Tabela 14.**

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

#### **2.6.4. Koszty pośrednie**

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

**Tabela 15.**

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

**Tabela 16.**

[REDACTED]



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

## 2.8. Wydatki na leczenie populacji docelowej

Zgodnie z *Ustawą o refundacji* w sytuacji, gdy budżet na refundację przekroczy 17% całkowitego budżetu na refundację świadczeń gwarantowanych, powinna być prowadzona analiza kwot przekroczenia. Na podstawie *Sprawozdania z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia* wnioskować można [18], że w horyzoncie analizy warunek powyższy nie zostanie spełniony (w 2013 roku wydano na refundację leków mniej, niż zakładano

---

w budżecie – wykonano 88% planowanego budżetu na refundację). Ponadto, budżet Narodowego Funduszu Zdrowia na rok 2015 jest wyższy niż na rok 2014 (przy porównywalnym budżecie na refundację) [15,16], tendencja zwiększania budżetu w kolejnych latach prawdopodobnie zostanie utrzymana [REDACTED]

Na podstawie oszacowana wielkości populacji chorych leczonych, wykorzystując szacunkowe udziały w rynku leków oraz całkowite koszty leczenia jednego chorego w ciągu roku, wyznaczono roczne wydatki budżetowe w perspektywie płatnika publicznego (wynikające z kosztów ocenianych technologii medycznych), perspektywie wspólnej (obejmującej perspektywę płatnika publicznego i pacjenta) oraz w perspektywie społecznej będącej rozszerzeniem perspektywy wspólnej o perspektywę najbliższego otoczenia chorych (ich opiekunów). Wydatki te będą się różnić w zależności od przyjętego scenariusza oraz jego wariantu.

Poniższe podrozdziały zawierają informacje o wielkości inkrementalnych kosztów (zmianie w wysokości kosztów, która nastąpi w związku z zaistnieniem scenariusza nowego zamiast istniejącego), o wysokości całkowitych kosztów ponoszonych na leczenie rozpatrywanej populacji w scenariuszu nowym i istniejącym w horyzoncie analizy oraz informacje o wysokości aktualnie ponoszonych kosztów.

---







I	II		III		IV	
	V	VI	VII	VIII	IX	X
I	II					
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II					
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II					
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II	III	IV	V	VI	VII
I	II					



[REDACTED]	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]		[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]		[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]		[REDACTED]			
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]







**Tabela 23.**

I	II		III		IV	
	A	B	C	D	E	F
I	II					
II	A	B	C	D	E	F
III	A	B	C	D	E	F
IV	A	B	C	D	E	F
V	II					
VI	A	B	C	D	E	F
VII	A	B	C	D	E	F
VIII	A	B	C	D	E	F
IX	II					
X	A	B	C	D	E	F
XI	A	B	C	D	E	F
XII	A	B	C	D	E	F
XIII	II					
XIV	A	B	C	D	E	F
XV	A	B	C	D	E	F
XVI	A	B	C	D	E	F



[REDACTED]	[REDACTED]		[REDACTED]		[REDACTED]	
	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
I	[REDACTED]					
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]
[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]	[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

### 2.8.2. Aktualne wydatki

[Redacted text block]

Tabela 24.

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



[Redacted text]

**Tabela 27.**

[Redacted text]

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

**Tabela 28.**

[Redacted text]

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

**Tabela 29.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

**Tabela 30.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

**Tabela 31.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

**Tabela 32.**

[Redacted text]

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

[Redacted text]

---

## 4. Wpływ na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych

Decyzja dotycząca refundacji produktu Gilenya® (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego, w ramach *Programu lekowego*, nie spowoduje znaczących konsekwencji w organizacji udzielania świadczeń zdrowotnych.

W związku z powyższym, w wyniku rozpoczęcia finansowania ocenianej technologii medycznej, nie wystąpi konieczność dodatkowych szkoleń personelu medycznego, czy też tworzenia nowych wytycznych określających sposób podawania leku. Objęcie refundacją technologii wnioskowanej nie będzie zatem mieć istotnego wpływu na organizację udzielania świadczeń zdrowotnych.

## 5. Aspekty etyczne i społeczne

Decyzja dotycząca objęcia refundacją produktu Gilenya® w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego, w ramach istniejącego *Programu lekowego - Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)*., dotyczy wyłącznie chorych spełniających wszystkie kryteria włączenia do *Programu lekowego*, co zapewnia, że technologia będzie stosowana w populacji chorych, u których spodziewane są największe korzyści kliniczne.

Wnioskowana technologia ma podobną skuteczność i bezpieczeństwo jak obecnie stosowany natalizumab. Wnioskowana technologia ma jednak przewagę wynikającą z postaci, w której dostępny jest fingolimod – kapsułek twardych, przyjmowanych doustnie co sprawia, że podanie tego leku jest prostsze i mniej uciążliwe niż w przypadku natalizumabu podawanego choremu we wlewie dożylnym.

Pozytywna decyzja dotycząca finansowania technologii wnioskowanej, nie stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi i nie nakłada na chorego dodatkowych wymogów związanych z rozpoczęciem leczenia.

Poniższa tabela (Tabela 31.) przedstawia ocenę aspektów społecznych i etycznych dotyczącej stosowania technologii wnioskowanej w omawianym wskazaniu.

---

**Tabela 33.**  
**Aspekty społeczne i etyczne**

Warunek	Wartość
Czy i które grupy pacjentów mogą być faworyzowane na skutek założeń przyjętych w analizie ekonomicznej;	Nie, żadne
Czy niekwestionowany jest równy dostęp do technologii medycznej przy jednakowych potrzebach;	Tak
Czy spodziewana jest duża korzyść dla wąskiej grupy osób, czy korzyść mała, ale powszechna;	Korzyść dla wąskiej grupy chorych
Czy technologia stanowi odpowiedź na niezaspokojone dotychczas potrzeby grup społecznie upośledzonych;	Nie
Czy technologia stanowi odpowiedź dla osób o największych potrzebach zdrowotnych, dla których nie ma obecnie dostępnej żadnej metody leczenia.	Nie
<b>Czy pozytywna decyzja w odniesieniu do ocenianej technologii może powodować problemy społeczne, w tym:</b>	
-wpływać na poziom satysfakcji pacjentów z otrzymywanej opieki medycznej;	Nie
-grozić niezaakceptowaniem postępowania przez poszczególnych chorych;	Nie
-powodować lub zmieniać stygmatyzację;	Nie
-wywoływać lęk;	Nie
-powodować dylematy moralne;	Nie
-stwarzać problemy dotyczące płci lub rodzinne.	Nie
<b>Czy decyzja dotycząca rozważanej technologii:</b>	
-stoi w sprzeczności z aktualnie obowiązującymi regulacjami prawnymi,	Nie
-stwarza konieczność dokonania zmian w prawie/przepisach;	Nie
-oddziałuje na prawa pacjenta lub prawa człowieka.	Nie
<b>Czy stosowanie technologii nakłada szczególne wymogi, takie jak:</b>	
-konieczność szczególnego informowania pacjenta lub uzyskiwania jego zgody;	Nie
-potrzeba zapewnienia pacjentowi poufności postępowania;	Nie
-potrzeba uwzględniania indywidualnych preferencji, potrzeba czynnego udziału pacjenta w podejmowaniu decyzji o wyborze metody postępowania.	Nie

Źródło: opracowanie własne

## 6. Założenia i ograniczenia

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]



---

[Redacted text block]

Pozostałe założenia, wynikające z przyjętych parametrów modelowania przedstawiono w rozdziale 2.7.

---

---

## 7. Podsumowanie i wnioski końcowe

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

---

---

W niniejszej pracy dążono do dokonania oceny wpływu na system ochrony zdrowia w Polsce decyzji o objęciu refundacją leku Gilenya® (fingolimod) w kolejnym wskazaniu - w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego, w *Wykazie leków refundowanych* w kategorii dostępności refundacyjnej – lek dostępny w ramach programu lekowego.

Finansowanie leku Gilenya® w rozpatrywanym wskazaniu przyczyni się do poprawy standardu postępowania terapeutycznego w leczeniu stwardnienia rozsianego. Stosowanie fingolimodu będzie mniej uciążliwe niż stosowanie natalizumabu. Mniejsza uciążliwość terapii zwiększy satysfakcję z leczenia i jakości życia chorych. Leczeniem zostaną objęci chorzy z obecnością przeciwciał anti-JCV, którzy do tej pory nie mieli zagwarantowanej skutecznej terapii.

## 8. Załączniki

### 8.1. Dane refundacyjne NFZ

**Tabela 34.**

Liczba zrefundowanych opakowań oraz wartość refundacji w 2014

Substancja czynna	Nazwa	Zawartość	EAN	Liczba opakowań w ciągu roku u chorego	Liczba opakowań (2014)	Wartość refundacji w PLN (2014)	Liczba chorych stosujących terapię	Udział w terapii chorych
Fingolimod	Gilenya®	28 kaps. x 0,5 mg	5909990856480	■	3 686	23 312 727	■	■
Natalizumab	Tysabri®	1 fiolka x 300 mg	5909990084333	■	2 163	13 277 427	■	■

Źródło: opracowanie własne na podstawie [11]

**Tabela 35.**

Koszty komparatorów ustalone na podstawie *Komunikatu NFZ* w zestawieniu z kosztami z *Obwieszczenia MZ* [PLN]

Substancja czynna	Nazwa	Zawartość	EAN	Średni koszt leku z <i>Komunikatu NFZ</i>	Średni koszt leku z <i>Obwieszczenia</i>
Natalizumab	Tysabri®	1 fiolka x 300 mg	5909990084333	6 138,85	6 686,19

Źródło: opracowanie własne na podstawie [11, 13]

## 8.2. Sprawdzenie zgodności analizy z minimalnymi wymaganiami opisanymi w *Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań*

**Tabela 36.**  
Zgodność analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w *Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań*

Nr	Zadanie	Tak/ Nie/ nie doty czy
1	Oszacowanie rocznej liczebności populacji	n/d
1.1	obejmującej wszystkich pacjentów, u których wnioskowana technologia może być zastosowana	TAK , rozd ział 2.5. 1.
1.2	docelowej, wskazanej we wniosku	TAK , rozd ział 2.5. 2.
1.3	w której wnioskowana technologia jest obecnie stosowana	TAK , rozd ział 2.5. 3.
1.4	w której wnioskowana technologia będzie stosowana przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK , rozd ział 2.5. 5.
2	Oszacowanie rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, ponoszonych na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK , rozd ział 2.8.
2.1	aktualnych	TAK , rozd ział 2.8. 2
2	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii, o	TAK

Nr	Zadanie	Tak/ Nie/ nie doty czy
2	ile występuje	, rozdział 2.8
3	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia nie wyda decyzji o objęciu refundacją podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
3 1	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.
4	Ilościowa prognoza rocznych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku, przy założeniu, że minister właściwy do spraw zdrowia wyda decyzję o objęciu refundacją lub podwyższeniu ceny	TAK, rozdział 2.8.
4 1	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii,	TAK, rozdział 2.8.
5	Oszacowanie dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, jakie będą ponoszone na leczenie pacjentów w stanie klinicznym wskazanym we wniosku	TAK, rozdział 2.8.
5 1	z wyszczególnieniem składowej wydatków stanowiącej refundację ceny wnioskowanej technologii	TAK, rozdział 2.8.
6	Minimalny i maksymalny wariant oszacowania dodatkowych wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych	TAK, rozdział 2.8.
8	Zestawienie tabelaryczne wartości, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7.
9	Wyszczególnienie założeń, na podstawie których dokonano oszacowań analizy oraz prognoz	TAK, rozdział 2.7., rozdział 0.

Nr	Zadanie	Tak/ Nie/ nie doty czy
91	wyszczególnienie założeń dotyczących kwalifikacji wnioskowanej technologii do grupy limitowej i wyznaczenia podstawy limitu	TAK, rozdział 0.
10	Do analizy dołączono dokument elektroniczny, umożliwiający powtórzenie wszystkich kalkulacji oraz prognoz	TAK
11	Oszacowań analizy oraz prognoz dokonano w horyzoncie czasowym właściwym dla analizy wpływu na budżet	TAK
12	Oszacowań oraz prognoz w analizie dokonano w szczególności na podstawie rocznej liczebności populacji	TAK
121	w analizie wpływu na budżet przedstawiono dodatkowy wariant, w którym oszacowania i prognozy uzyskano w oparciu o inne dane (w przypadku braku wiarygodnych oszacowań rocznej liczebności populacji)	n/d, obliczenia w analizie przeprowadzono na podstawie oszacowania liczebności populacji
13	Oszacowania analizy oraz prognozy przedstawiono w następujących wariantach [Redacted text]	[Redacted]
131	Wskazano dowody spełnienia wymagań, o których mowa: <ul style="list-style-type: none"> <li>• w art. 15 ust. 3 pkt 1 i 3 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują utworzenie nowej, odrębnej grupy limitowej)</li> <li>• w art. 15 ust. 2. 15 ust. 3 pkt 2 <i>Ustawy o refundacji</i> (jeżeli wnioskowane warunki objęcia refundacją obejmują kwalifikację do wspólnej, istniejącej grupy limitowej)</li> </ul>	Nie dotyczy

---

Źródło: opracowanie własne na podstawie *Rozporządzenia MZ w sprawie minimalnych wymagań*

---



## 9. Spis tabel

Tabela 1. Wielkość populacji leczonej w <i>Programie lekowym</i> .....	19
Tabela 2. Wielkość populacji leczonej w II linii leczenia SM, leczonej fingolimodem w dotychczasowym zakresie wskazań .....	20
Tabela 3. Prognoza wielkości populacji chorych z RES SM leczonych fingolimodem.....	21
Tabela 4. Charakterystyka kosztowa leku Gilenya <sup>®</sup> .....	24
Tabela 5. Koszt terapii fingolimodem ( [REDACTED] ) .....	24
Tabela 6. Koszt terapii fingolimodem ( [REDACTED] ) .....	24
Tabela 7. Koszt terapii natalizumabem (w perspektywie płatnika publicznego, wspólnej, społecznej) – z uwzględnieniem kosztu leku określonego na podstawie <i>Obwieszczenia MZ ws. wykazu refundowanych leków</i> .....	25
Tabela 8. Koszt terapii natalizumabem (w perspektywie płatnika publicznego, wspólnej, społecznej) – z uwzględnieniem kosztu leku określonego na podstawie <i>Komunikatu NFZ</i> .....	25
Tabela 9. Koszt leczenia rzutu choroby [PLN] .....	26
Tabela 10. Parametry zależności liniowej ( $y = ax + b$ ) łączącej koszty bezpośrednie leczenia objawowego ze średnim stopniem niepełnosprawności w skali EDSS..	26
Tabela 11. Średni koszt leczenia rzutów choroby i leczenia objawowego w terapii fingolimodem i natalizumabem w trakcie terapii (w perspektywie płatnika publicznego).....	26
Tabela 12. Średni koszt leczenia rzutów choroby i leczenia objawowego w terapii fingolimodem i natalizumabem w trakcie terapii (w perspektywie wspólnej, społecznej).....	27
Tabela 13. Parametry zależności liniowej ( $y = ax + b$ ) łączącej koszty pośrednie ze średnim stopniem niepełnosprawności w skali EDSS.....	27
Tabela 14. Średnia wielkość kosztów pośrednich w terapii fingolimodem i natalizumabem (w perspektywie społecznej).....	27
Tabela 15. Najważniejsze parametry modelu – wartości i źródła wykorzystane w analizie wrażliwości.....	28
Tabela 16. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego – [REDACTED] .....	31

Tabela 17. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej – [REDACTED] [REDACTED] .....	32
Tabela 18. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy społecznej – [REDACTED] [REDACTED] .....	34
Tabela 19. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego – [REDACTED] [REDACTED] .....	36
Tabela 20. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy wspólnej – [REDACTED] [REDACTED] .....	37
Tabela 21. Wyniki analizy wpływu na budżet z perspektywy społecznej – [REDACTED] [REDACTED] .....	39
Tabela 22. Szacunek wysokości aktualnych wydatków w rozpatrywanej populacji, z perspektywy płatnika publicznego [mln PLN].....	41
Tabela 23. Szacunek wysokości aktualnych wydatków w rozpatrywanej populacji, z perspektywy wspólnej [mln PLN].....	42
Tabela 24. Szacunek wysokości aktualnych wydatków w rozpatrywanej populacji, z perspektywy społecznej [mln PLN] .....	42
Tabela 25. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy płatnika publicznego – [REDACTED] [REDACTED] .....	43
Tabela 26. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy wspólnej – [REDACTED] [REDACTED] .....	43
Tabela 27. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy społecznej – [REDACTED] [REDACTED] .....	43
Tabela 28. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy płatnika publicznego – [REDACTED] .....	44
Tabela 29. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy wspólnej – [REDACTED] [REDACTED] .....	44
Tabela 30. Wyniki analizy wrażliwości wykonanej z perspektywy społecznej – [REDACTED] [REDACTED] .....	44
Tabela 31. Aspekty społeczne i etyczne .....	46
Tabela 32. Liczba zrefundowanych opakowań oraz wartość refundacji w 2014 (ekstrapolacja na podstawie okresu styczeń-listopad 2014) .....	50
Tabela 33. Koszty komparatorów ustalone na podstawie <i>Komunikatu NFZ</i> w zestawieniu z kosztami z <i>Obwieszczenia MZ</i> [PLN] .....	50

---

Tabela 34. Zgodność analizy wpływu na system ochrony zdrowia z minimalnymi wymaganiami przedstawionymi w <i>Rozporządzeniu Ministra Zdrowia w sprawie minimalnych wymagań</i> .....	51
---	----



## **10. Spis rysunków**

Rysunek 1. Scenariusze brane pod uwagę w analizie wpływu na budżet .....	14
--	----

---

---

## 11. Bibliografia

1. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, *Wytyczne Oceny Technologii Medycznych stanowiące załącznik do Zarządzenia Nr 1/2010 Prezesa AOTMiT z dnia 4 stycznia 2010 r. w sprawie wytycznych oceny świadczeń opieki zdrowotnej*
  2. Agencja Oceny Technologii Medycznych (we współpracy z School of Health and Related Research – ScHARR, Uniwersytet w Sheffield), *Analiza kosztów-użyteczności terapii immunomodulujących w stwardnieniu rozsianym w Polsce, Warszawa 2007*
  3. Charakterystyka Produktu Leczniczego Gilenya®
  4. Charakterystyka Produktu Leczniczego Tysabri®
  5. Członkowska A., *Stwardnienie rozsiane – współczesna diagnostyka i leczenia, Praktyka Medyczna*
  6. Dane dostarczone przez Podmiot Odpowiedzialny
  7.  *Gilenya® (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego – analiza problemu decyzyjnego i analiza kliniczna*
  8. GUS, Rocznik Statystyczny Rzeczypospolitej Polskiej 2013
  9. *Informator o umowach NFZ:*  
<http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=2&dzialnr=1&artnr=1483> (data dostępu: 2015.03.12)
  10.  *Gilenya® (fingolimod) w leczeniu chorych na szybko rozwijającą się, ciężką, ustępująco-nawracającą postać stwardnienia rozsianego – analiza ekonomiczna*
  11. Narodowy Fundusz Zdrowia, *Komunikat DGL - Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń-grudzień 2014)*, (data dostępu 2015.09.07)
-

- 
12. Narodowy Fundusz Zdrowia, *Komunikat DGL - Wartość wykonanych świadczeń dla substancji czynnych wykorzystywanych w programach terapeutycznych i chemioterapii (styczeń 2013) – (styczeń-listopad 2014)*, (data dostępu 2015.03.18)
  13. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 lutego 2015 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrow. 2015.9)
  14. Orlewska E., Mierzejewski P., Zaborski J., i in., *A prospective study of the financial costs of multiple sclerosis at different stages of the disease*, European Journal of Neurology 2005, 12: 31-39
  15. Plan finansowy Narodowego Funduszu Zdrowia na 2014 r., zatwierdzony przez Ministra Zdrowia w porozumieniu z Ministrem Finansów w dniu 30 grudnia 2014 r., stanowiący załącznik do Zarządzenia nr 46/2013/DEF Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 sierpnia 2013 r. w sprawie zmiany planu finansowego Narodowego Funduszu Zdrowia na 2014 rok (z późniejszymi zmianami)
  16. Plan finansowy Narodowego Funduszu Zdrowia na 2015 r. zatwierdzony przez Ministra Zdrowia w porozumieniu z Ministrem Finansów w dniu 7 stycznia 2015 r., stanowiący załącznik do Zarządzenia Nr 6/2015/DEF Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 16 stycznia 2015 r. w sprawie zmiany planu finansowego Narodowego Funduszu Zdrowia na 2015 rok
  17. 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
  18. Sprawozdanie z działalności Narodowego Funduszu Zdrowia za 2013 rok
  19. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. Nr. 210, poz. 2135, z poz. zm.)
  20. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. 2011 Nr 122, poz. 696, z poz. zm.)
-

- 
21. Walker A., Watson C., Alexopoulos S.T., i in. *A benefit–risk analysis of natalizumab in the treatment of patients with multiple sclerosis when considering the risk of progressive multifocal leukoencephalopathy*, Current Medical Research & Opinion 2014, Vol. 30 (4):629–635
  22. Zarządzenie Nr 82/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 17 grudnia 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju ambulatoryjna opieka specjalistyczna
  23. Zarządzenie Nr 69/2013/DSOZ Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 27 listopada 2013 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów o udzielanie świadczeń opieki zdrowotnej w rodzaju: podstawowa opieka zdrowotna
  24. Zarządzenie Nr 78/2013/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 13 grudnia 2013 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy zdrowotne (lekowe)
-